

20 януари 2011 г.
ЕМА/13310/2011
ЕМЕА/Н/С/001244

Въпроси и отговори

Оттегляне на заявлението за разрешение за употреба за Tekinex (omacetaxine mepesuccinate)

На 11 януари 2011 г. ChemGenex Europe SAS официално уведомява Комитета по лекарствените продукти за хуманна употреба (CHMP), че желае да оттегли заявлението си за разрешение за употреба за Tekinex, предназначен за лечение на пациенти с положителна за филаделфийска хромозома хронична миелоидна левкемия, които имат „Bcr-Abl T315I киназен домен“ мутация и при които предходното лечение с иматиниб е неуспешно.

Какво представлява Tekinex?

Tekinex е лекарство, което съдържа активното вещество омацетаксин мепесукцинат (*omacetaxine mepesuccinate*). Трябвало е да се предлага под формата на прах за инжекционен разтвор.

За какво се е очаквало да се използва Tekinex?

Tekinex е трябвало да се използва за лечение на възрастни с положителна за филаделфийска хромозома (Ph+) хронична миелоидна левкемия (ХМЛ, рак на вид бели кръвни клетки, наречени гранулоцити). Наличието на филаделфийска хромозома означава, че някои от гените на пациента са се пренаредили и се е образувала особена хромозома, наречена „филаделфийска“, която произвежда ензим, Bcr-Abl киназа, водещ до развитие на левкемия.

Продуктът е трябвало да се използва при пациенти, при които предходното лечение с иматиниб (друго противораково лекарство) е неуспешно, вероятно поради мутация в гена за Bcr-Abl киназата, наречена „T315I мутация“.

Тъй като броят на пациентите с ХМЛ е малък, заболяването се смята за „рядко“ и Tekinex е определен за „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки заболявания) на 2 септември 2004 г.

Как се очаква да действа Tekinex?

Активното вещество в Tekinex, омацетаксин, е инхибитор на синтезата на белтъците. Той се получава от харингтонин – вещество, извлечено от китайско вечнозелено растение. Начинът му на действие не е изяснен, но се предполага, че нарушава производството на Bcr-Abl тирозинкиназния ензим.

Други лекарства, известни като тирозинкиназни инхибитори, включително иматиниб, действат при хронична миелоидна левкемия, като се свързват директно с Bcr-Abl тирозинкиназния ензим. T315I мутацията променя определени свойства на ензима, като прави по-трудно свързването с него за тези лекарства. Тъй като омацетаксин не действа по този начин, той не се повлиява от T315I мутацията. Поради това Tekinex се е очаквало да действа при пациенти с наличие на филаделфийска хромозома и T315I мутация.

Каква информация е представила компанията в подкрепа на своето заявление?

Преди провеждане на проучвания при хора ефектите на Tekinex са изследвани върху експериментални модели. Компанията представя резултати от основно проучване, включващо 66 пациенти с положителна за филаделфийска хромозома ХМЛ и T315I мутация, при които предходното лечение с иматиниб е неуспешно. Tekinex не е сравнен директно с друго лечение. Проучването изследва как се повлияват пациентите от лечението, въз основа на резултатите от кръвните тестове, направени за измерване на активността на рака.

На какъв етап от оценката е заявлението към момента на оттеглянето?

Когато е оттеглено, заявлението е на „ден 120“ от процедурата. Това означава, че CHMP е оценил първоначалната информация, представена от компанията, и е формулирал списък с въпроси. Към момента на оттегляне компанията все още не е отговорила на въпросите.

Какви са препоръките на CHMP към онзи момент?

Въз основа на прегледа на информацията към момента на оттеглянето CHMP има известни опасения и изразява предварителното становище, че не е било възможно Tekinex да бъде одобрен.

CHMP счита, че ползите от лекарството не са сигурни. Освен това има недостатъчно проследяване на пациентите след лечение и Комитетът изразява съмнение, че лекарството е достатъчно безопасно за самостоятелно приложение от пациентите, както се е очаквало от компанията. CHMP има също опасения по отношение на използваните в проучването дози и критериите за измерване на ефективността на лекарството. И накрая, след проверка на центровете, където е проведено проучването, Комитетът отбелязва, че има някои несъответствия в приложението, които биха могли да повлияят на надеждността на резултатите от проучването.

Поради това към момента на оттеглянето становището на CHMP е, че ползите от Tekinex не превишават рисковете.

Какви причини посочва компанията за оттеглянето на заявлението?

Писмото, с което компанията уведомява Агенцията за оттеглянето на заявлението, може да се намери в раздел „All documents“ (Всички документи).

Какви са последствията от оттеглянето на заявлението за пациентите, участващи в клинични изпитвания или програми за палиативна употреба?

Компанията уведомява CHMP, че клиничните изпитвания с Tekinex ще продължат.

Резюме на становището на Комитета по лекарствата сираци относно Tekinex може да се намери на уебсайта на Агенцията [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation) .