



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

18 март 2010 г.
EMA/265121/2010
EMA/H/C/1115

Въпроси и отговори

Оттегляне на заявлението за разрешение за употреба за Tyvaso (натриев трепростинил)

На 17 февруари 2010 г. United Therapeutics Europe Ltd уведомява официално Комитета по лекарствените продукти за хуманна употреба (CHMP), че желае да оттегли заявлението си за разрешение за употреба за Tyvaso, предназначен за употреба като „допълнително“ лечение при пациенти с белодробна артериална хипертония.

Какво представлява Tyvaso?

Tyvaso е лекарство, което съдържа активното вещество натриев трепростинил. То е трябвало да се предлага под формата на разтвор за пулверизиране.

За какво се е очаквало да се използва Tyvaso?

Очаквало се е Tyvaso да се използва за лечение на пациенти с белодробна артериална хипертония за подобряване на физическия капацитет (способността да се извършва физическа дейност). Белодробната артериална хипертония представлява неестествено високо кръвно налягане в артериите на белите дробове.

Tyvaso е трябвало да се прилага при пациенти с белодробна артериална хипертония, класифицирани като „функционален клас III по Нюйоркската кардиологична асоциация“, които са на лечение или с „ендотелин-рецепторен антагонист“ или с „инхибитор на фосфодиестераза-5“ (други лекарства за белодробна артериална хипертония). Класът отразява тежестта на белодробната артериална хипертония: клас III означава изявени ограничения във физическата активност. Очаквало се е Tyvaso да бъде прилаган чрез инхалация, като пациентът вдишва лекарството директно в белите дробове.

Tyvaso е определен за „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки заболявания) за белодробна артериална хипертония на 14 април 2004 г.



Как се е очаквало да действа Tyvaso?

Белодробната артериална хипертония е инвалидизиращо заболяване, при което настъпват силни свивания на кръвоносните съдове на белите дробове. Това причинява високо кръвно налягане в съдовете, които пренасят кръв от сърцето към белите дробове. Това налягане намалява количеството кислород, което може да попадне в кръвта, като така затруднява физическата активност.

Активното вещество в Tyvaso, натриев трепростинил, е аналог на простациклин, естествена молекула, която предизвиква разширяване на кръвоносните съдове. При вдишване натриевият трепростинил се очаква да предизвика разширяване на кръвоносните съдове на белите дробове, което може да облекчи неестествено високото кръвно налягане в артериите на белите дробове.

Какво е представила компанията в подкрепа на своето заявление?

Тъй като лекарства, съдържащи трепростинил, се предлагат в Европа от 2005 г. насам, компанията използва някои от тези данни в подкрепа на своето заявление за Tyvaso. Компанията представя резултатите от едно основно проучване, обхващащо 235 пациенти с белодробна артериална хипертония, които се лекуват или с ендотелин-рецепторен антагонист, или с инхибитор на фосфодиестераза-5. Като добавка към съществуващото лечение на пациентите е даван или Tyvaso, или плацебо (сляпо лечение). Основната мярка за ефективност е промяната в разстоянието, което пациентите могат да изминат за шест минути след 12 седмично лечение.

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

Заявлението е оттеглено след ден 181 от процедурата. Това означава, че CHMP е оценил представената от компанията документация и е формулирал списък с въпроси. След като CHMP оценява отговорите на компанията на последната серия въпроси, все още има някои неразрешени проблеми.

Какви са препоръките на CHMP към онзи момент?

Въз основа на прегледа на информацията и отговорите на компанията на списъците с въпроси на CHMP, към момента на оттеглянето CHMP има опасения. Основното опасение е, че проверките на двата центъра, където се извършва основното проучване, показват, че то не е провеждано съгласно изискванията за „добра клинична практика“ (GCP). Поради това резултатите от проучването не се считат за надеждни и CHMP заключава, че лекарственият продукт не би могъл да бъде одобрен въз основа на данните, представени от компанията.

Какви причини посочва компанията за оттеглянето на заявлението?

Писмото, с което компанията уведомява Агенцията за оттеглянето на заявлението, може да се намери [тук](#).

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

Компанията уведомява CHMP, че към момента на оттеглянето има едно текущо клинично проучване в Европа и че Tyvaso също се доставя като част от програма за палиативната употреба в един специализиран център в Германия. Лечението на тези пациенти ще продължи до получаването на алтернативни лечения.

Резюме на становището на Комитета по лекарствата сираци относно Tyvaso може да се намери [тук](#).