



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

21 септември 2018 г.
EMA/621972/2018
EMA/H/C/004355

Отказ за издаване на разрешение за употреба на Exondys (eteplirsen)

Резултат от преразглеждането

На 31 май 2018 г. Комитетът по лекарствените продукти за хуманна употреба (CHMP) прие отрицателно становище, препоръчващо отказ за издаване на разрешение за употреба на лекарствения продукт Exondys, предназначен за лечение на мускулна дистрофия тип Дюшен. На 1 юни 2018 г. AVI Biopharma International Ltd — фирмата, подала заявление за разрешаване, поиска преразглеждане на становището на CHMP.

След като обсъди основанията на искането, CHMP преразгледа становището си и на 20 септември 2018 г. потвърди отказа за издаване на разрешение за употреба.

Какво представлява Exondys?

Exondys е лекарство, което съдържа активното вещество етеплирсен (eteplirsen). Трябвало е да се предлага под формата на концентрат за приготвяне на инфузионен (капков) разтвор за вливане във вената.

За какво се очаква да се използва Exondys?

Exondys се е очаквало да се използва за лечение на мускулна дистрофия тип Дюшен (DMD) при пациенти на възраст от 4 години с мутация (промяна) в DMD гена, която позволява лечение, включващо „прескачане на екзон 51“. Това означава, че DMD генът на пациентите може да синтезира „работна форма“ на дистрофиновия протеин, когато част от гена, наречен екзон 51, не се използва.

Exondys е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, което се използва при редки болести) на 3 декември 2008 г. за лечение на DMD. Допълнителна информация за определянето на лекарството сирак можете да намерите [тук](#).



Как действа Exondys?

При пациентите с DMD не се синтезира протеин, наречен дистрофин. Лекарството позволява екзон 51 да бъде пропуснат и по този начин да се стимулира производството на скъсен вариант на дистрофин. Този скъсен протеин се очаква да действа като нормалния дистрофин. Това помага на организма да компенсира липсата на дистрофин и по този начин облекчава симптомите на DMD.

Какво е представила фирмата в подкрепа на своето заявление?

Фирмата е представила резултатите от две основни проучвания, обхващащи 12 момчета на възраст от 7 до 13 години с DMD, които имат генетична мутация, подлежаща на лечение с прескачане на екзон 51. В първото проучване Exondys е сравнен с плацебо (сляпо лечение) през първите 24 седмици, след което всички пациенти са лекувани с Exondys. Основната мярка за ефективност е промяната в разстоянието, което се изминава по време на 6-минутен тест с ходене след 24 седмици.

Второто проучване, разширение на първото, включва същите пациенти, като всички са лекувани с Exondys в продължение на още 4 години.

Фирмата сравнява също резултатите от проучванията с тези от различни исторически данни.

Какви са основните опасения на CHMP, довели до отказа?

CHMP изразява загриженост, че в основното проучване, което обхваща само 12 пациенти, Exondys не е сравнен с плацебо след 24-те седмици, през които не е установена значима разлика между Exondys и плацебо при 6-минутния тест с ходене. Методите за сравняване на резултатите от основните проучвания с историческите данни не са задоволителни за демонстриране на ефективността на лекарството. Комитетът смята, че са необходими допълнителни данни, за да се покаже, че много ниските количества скъсен дистрофин, произвеждан в резултат на лечение с Exondys, носят трайни ползи, които са от значение за пациента.

Поради това CHMP счита, че съотношението полза/риск за Exondys при лечението на DMD не може да бъде установено, и препоръча отказ за издаване на разрешение за употреба за този продукт. Отказът на CHMP е потвърден след преразглеждането.

Какви са последствията от отказа за пациентите, участващи в клинични изпитвания?

Фирмата е уведомила CHMP, че няма последствия за пациентите, включени понастоящем в клинични изпитвания с Exondys.

Ако участвате в клинично изпитване и се нуждаете от повече информация за вашето лечение, свържете се с лекуващия лекар от изпитването.