



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

13. listopadu 2020
EMA/594092/2020
EMA/H/C/005123

Stažení žádosti o vydání rozhodnutí o registraci přípravku Puldysa (idebenon)

Společnost Santhera Pharmaceuticals (Deutschland) GmbH stáhla svou žádost o vydání rozhodnutí o registraci přípravku Puldysa určeného k léčbě Duchenneovy svalové dystrofie.

Společnost svou žádost stáhla dne 28. října 2020.

Co je přípravek Puldysa a k čemu měl být používán?

Přípravek Puldysa byl vyvinut jako léčivý přípravek k léčbě zhoršení dýchání u pacientů s Duchenneovou svalovou dystrofií, kteří neužívají kortikosteroidy.

Přípravek Puldysa obsahuje léčivou látku idebenon a měl být dostupný ve formě potahovaných tablet užívaných ústy.

Byl vyvinut jako „hybridní léčivý přípravek“. Znamená to, že měl být obdobou „referenčního léčivého přípravku“ obsahujícího stejnou léčivou látku, který je již v Evropské unii registrován. Referenčním léčivým přípravkem je přípravek Mnesis, který je registrován v Itálii k léčbě glaukomu.

Přípravek Puldysa byl označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“ určený k léčbě Duchenneovy svalové dystrofie dne 20. března 2007. Další informace o léčivých přípravcích pro vzácná onemocnění naleznete [zde](#).

Jak přípravek Puldysa působí?

Léčivá látka v přípravku Puldysa, idebenon, je antioxidační látka, která působí na mitochondrie (struktury uvnitř buněk, které vytvářejí energii nezbytnou pro buněčné funkce). U pacientů s Duchenneovou svalovou dystrofií mitochondrie nefungují správně a vytvářejí toxické formy kyslíku, které poškozují svalové buňky. Má se za to, že idebenon pomáhá zlepšovat tvorbu energie prostřednictvím obnovy funkce mitochondrií a tím předcházet poškození buněk a ztrátě svalové funkce, včetně svalů používaných při dýchání.

Idebenon je také v EU registrován k léčbě kognitivních poruch a poruch chování, Friedreichovy ataxie a Leberovy dědičné optické neuropatie.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Jakou dokumentaci předložila společnost na podporu své žádosti?

Společnost poskytla výsledky ze tří hlavních studií, do kterých byly zařazeni pacienti s Duchenneovou svalovou dystrofií, kteří nebyli léčeni kortikosteroidy. Ve dvou studiích byl přípravek Puldysa srovnáván s placebem (neúčinným přípravkem) a jeho účinnost byla hodnocena na základě zlepšení funkce plic nebo změny PEF (maximální výdechové rychlosti, což je ukazatel dechových funkcí) po jednom roce léčby. Ve třetí studii byli pacienti léčeni přípravkem Puldysa sledováni déle, aby se zjistilo, zda účinky na dýchání přetrvávaly.

V jaké fázi bylo posuzování žádosti v době, kdy byla stažena?

Žádost byla stažena poté, co Evropská agentura pro léčivé přípravky posoudila informace předložené společností a vypracovala otázky pro společnost. Agentura vyhodnotila odpovědi společnosti na poslední sadu otázek, některé body však zůstaly nedořešené.

Jaké bylo doporučení agentury v dané době?

Na základě vyhodnocení dostupných údajů a odpovědí společnosti na otázky agentury měla agentura v době stažení žádosti určité pochybnosti a její prozatímní stanovisko bylo, že přípravek Puldysa nemůže být schválen k léčbě zhoršení dechových funkcí u pacientů s Duchenneovou svalovou dystrofií, kteří neužívají kortikosteroidy.

Agentura usoudila, že příznivé účinky na funkci plic nebyly ve všech studiích konzistentní a nebylo jasné, zda je lze dlouhodobě udržet.

Agentura proto v době stažení žádosti zastávala názor, že přínosy přípravku Puldysa nepřevyšují jeho rizika.

Jaké důvody stažení žádosti uvedla společnost?

Společnost ve svém [dopise](#), v němž uvědomuje agenturu o stažení žádosti, uvedla, že žádost stahuje po ukončení probíhající hlavní studie, která měla poskytnout další důkazy o účinnosti přípravku Puldysa u Duchenneovy svalové dystrofie, neboť se jí nepodařilo dosáhnout stanovené cíle.

Jaké jsou důsledky stažení žádosti pro pacienty zařazené do klinických studií nebo do programů, v nichž je přípravek Puldysa podáván v rámci léčby z humanitních důvodů (na základě principu tzv. compassionate use)?

Společnost informovala agenturu, že všechny klinické studie a programy, v nichž je přípravek Puldysa podáván v rámci léčby Duchenneovy svalové dystrofie z humanitních důvodů, se ukončují. Lékaři zapojení do klinických studií se obrátí na pacienty s cílem pozvat je na závěrečné kontroly.

Pokud jste zařazení do klinické studie nebo do programu, v němž je přípravek Puldysa podáván v rámci léčby z humanitních důvodů, a potřebujete získat více informací o své léčbě, obraťte se na svého lékaře v rámci klinické studie.