

Londýn 26. června 2008
Dok. č. EMEA/391213/2008

**OTÁZKY A ODPOVĚDI TÝKAJÍCÍ SE STAŽENÍ ŽÁDOSTI O VYDÁNÍ ROZHODNUTÍ O
REGISTRACI
přípravku
LENALIDOMIDE CELGENE EUROPE**

Mezinárodní nechráněný název (INN): **lenalidomide**

Dne 30. května 2008 společnost Celgene Europe Limited oficiálně oznámila Výboru pro humánní léčivé přípravky (CHMP), že se rozhodla stáhnout svou žádost o vydání rozhodnutí o registraci přípravku Lenalidomide Celgene Europe určeného k léčbě anémie způsobené myelodysplastickými syndromy. Přípravek Lenalidomide Celgene Europe byl označen jako léčivý přípravek pro vzácná onemocnění dne 8. března 2004.

Co je Lenalidomide Celgene Europe?

Lenalidomide Celgene Europe je léčivý přípravek obsahující účinnou látku lenalidomid. Lenalidomid je v Evropské unii schválen od června roku 2007 pod názvem Revlimid, a sice k léčbě mnohočetného myelomu. Mnohočetný myelom je nádorové onemocnění plazmatických buněk kostní dřeně.

Na co měl být přípravek Lenalidomide Celgene Europe používán?

Přípravek Lenalidomide Celgene Europe měl být používán k léčbě anémie (nízkého počtu červených krvinek) způsobené myelodysplastickými syndromy, což je skupina onemocnění, při nichž kostní dřeň produkuje příliš malé množství červených krvinek. V některých případech mohou myelodysplastické syndromy vést k rozvoji akutní myeloidní leukémie (druh rakoviny bílých krvinek). Přípravek Lenalidomide Celgene Europe měl být používán u pacientů, kteří byli při své léčbě anémie závislí na krevních transfuzích a jejichž myelodysplastické syndromy byly spojeny se specifickou genetickou mutací (ztrátou části chromozomu číslo 5), a u pacientů s nízkým až středně vysokým rizikem progresu onemocnění k leukémii či úmrtí.

Jak by měl přípravek Lenalidomide Celgene Europe působit?

Lenalidomid, účinná látka přípravku Lenalidomide Celgene Europe, je imunomodulátor. To znamená, že ovlivňuje aktivitu imunitního systému (přirozeného obranného mechanismu těla). Přesný způsob působení lenalidomidu u myelodysplastických syndromů není znám, nicméně má se za to, že blokuje růst nádorových buněk v kostní dřeni, přičemž umožňuje růst běžných buněk kostní dřeně včetně buněk, které produkují červené krvinky.

Jakou dokumentaci předložila společnost výboru CHMP na podporu své žádosti?

Účinky přípravku Lenalidomide Celgene Europe byly nejprve testovány na experimentálních modelech a teprve poté na lidech.

Jeho účinnost byla zkoumána v rámci jedné hlavní studie prováděné v celé řadě nemocnic a klinik („zdravotnických pracovišť“) v USA a v Německu. Do studie bylo zařazeno 148 pacientů s anémií, kteří byli závislí na transfuzi, s nízkým až středně vysokým (úroveň 1) rizikem myelodysplastických syndromů a ztráty části chromozomu 5 („syndrom 5q“). Studie zkoumala účinky léčby přípravkem Lenalidomide Celgene Europe o denní dávce 10 mg podávané buď nepřetržitě, nebo formou opakovaného třítydenního léčebného cyklu, který je následován jedním týdnem bez léčby. Hlavním měřítkem účinnosti byl podíl pacientů, kteří se stali „nezávislými na transfuzi“, což znamená že jejich anémie byla zvládána bez nutnosti krevní transfuze po dobu osmi týdnů.

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

Posuzování přípravku bylo ukončeno a výbor CHMP vydal záporné stanovisko, které bylo po následném přezkoumání potvrzeno. Společnost stáhla svou žádost předtím, než Evropská komise přijala formální rozhodnutí.

Jaké bylo doporučení výboru CHMP v dané době?

Na základě vyhodnocení dostupných údajů a odpovědí společnosti na seznam otázek v době stažení žádosti vydal výbor CHMP záporné stanovisko a nedoporučil udělit rozhodnutí o registraci pro přípravek Lenalidomide Celgene Europe k léčbě anémie způsobené myelodysplastickými syndromy.

Čím byl výbor CHMP nejvíce znepokojen?

Výbor CHMP byl znepokojen způsobem provedení hlavní studie, v jehož důsledku bylo složité vyhodnotit bezpečnost přípravku Lenalidomide Celgene Europe. Bylo zejména nesnadné určit, zda léčba přípravkem Lenalidomide Celgene Europe zvyšovala riziko progresu onemocnění k akutní myeloidní leukémii, neboť studie nesrovnávala přípravek s žádnou jinou léčbou. Inspekce zdravotnických pracovišť, na kterých byla hlavní studie prováděna, navíc vzbudila jisté pochybnosti o způsobu zaznamenávání výsledků, jež mohl ještě více ovlivnit spolehlivost hlavní studie. Proto výbor CHMP v době stažení žádosti zastával názor, že přínos přípravku Lenalidomide Celgene Europe nebyl dostatečným způsobem prokázán a že přínosy tohoto přípravku nepřevyšují zjištěná rizika.

Jaké důvody stažení žádosti uvedla společnost?

Dopis, v němž společnost uvědomuje Evropskou agenturu pro léčivé přípravky o svém rozhodnutí stáhnout žádost je k dispozici zde.

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

Společnost informovala výbor CHMP, že bude i nadále lenalidomid poskytovat pacientům zařazeným do klinických studií nebo programů tzv. compassionate use. Pokud jste zařazení do klinické studie nebo programu podávání přípravku v rámci zvláštní léčby z humanitních důvodů (na základě principu tzv. compassionate use) a potřebujete získat více informací o své léčbě, obraťte se na lékaře, který vám přípravek podává.

Jaká je situace ohledně přípravku Revlimid používaného k léčbě mnohočetného myelomu?

Toto stažení žádosti nemá žádné důsledky pro používání přípravku Revlimid, který rovněž obsahuje lenalidomid, v jeho schválených indikacích. Poměr přínosů a rizik přípravku Revlimid zůstává beze změn.