

Londýn 30. března 2008
Dok. č. EMEA/304436/2008

**OTÁZKY A ODPOVĚDI TÝKAJÍCÍ SE STAŽENÍ ŽÁDOSTI O VYDÁNÍ ROZHODNUTÍ
O REGISTRACI
přípravku
ORBEC**

Mezinárodní nechráněný název (INN): **beklometazon dipropionát**

Dne 22. května 2008 společnost DOR BIOPHARMA UK Ltd oficiálně oznámila Výboru pro humánní léčivé přípravky (CHMP), že se rozhodla stáhnout svou žádost o vydání rozhodnutí o registraci přípravku orBec určeného k léčbě onemocnění gastrointestinálního traktu typu reakce štetu proti hostiteli. Přípravek orBec byl označen jako léčivý přípravek pro vzácná onemocnění dne 13. března 2002.

Co je orBec?

orBec je léčivý přípravek obsahující účinnou látku beklometazon dipropionát. Měl být k dispozici ve formě dvou samostatných tablet, které měly být užívány dohromady: jedna tableta s okamžitým uvolňováním (okamžité uvolňování znamená, že tableta byla vyrobena tak, aby bylo umožněno okamžité uvolňování účinné látky) a jedna tableta odolná vůči prostředí v žaludku (odolnost vůči prostředí v žaludku znamená, že obsah tablet projde žaludkem bez toho, že by byl rozložen dříve, než dosáhne střeva).

Na co měl být přípravek orBec používán?

Přípravek orBec měl být používán k léčbě onemocnění gastrointestinálního traktu typu reakce štetu proti hostiteli. K reakci štetu proti hostiteli může dojít u pacientů, kteří podstoupili transplantaci tkáně nebo orgánu, a pokud buňky transplantovaného orgánu nebo tkáně rozpoznají pacientovo tělo jako „cizí“, a napadnou ho. Pacienti s onemocněním gastrointestinálního traktu typu reakce štetu proti hostiteli mají poškozený žaludek a střeva, což vyvolává těžký zánět těchto orgánů.

Jak by měl přípravek orBec působit?

Účinná látka přípravku orBec, beklometazon dipropionát, je kortikosteroid, který byl používán v inhalačních, nosních a kožních léčivých přípravcích od 70. let. Působí tak, že tlumí aktivitu imunitního systému (přirozený obranný systém těla) vazbou na receptory v různých typech imunitních buněk. V přípravku orBec měl být beklometazon dipropionát užíván ústy, aby mohl působit v žaludku a střevech. Měl blokovat receptory v žaludku a střevech a tím snižovat lokální produkci látek, které se účastní rozpoznávání cizích buněk a zánětlivého procesu. Toto mělo vést k omezení poškození žaludku a střev.

Jakou dokumentaci předložila společnost výboru CHMP na podporu své žádosti?

Žadatel předložil údaje o beklometazon dipropionátu na experimentálních modelech získané z vědecké literatury.

Účinnost přípravku orBec byla zkoumána v jedné hlavní studii, ve které byl u 129 pacientů s onemocněním gastrointestinálního traktu typu reakce štetu proti hostiteli srovnáván přípravek orBec s placebem (léčba neúčinným přípravkem). Hlavním měřítkem účinnosti byla doba, za jakou došlo k selhání léčby během 50 dnů, kdy byla léčba podávána.

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

Společnost stáhla svou žádost 180. den od jejího podání.

Výbor CHMP vyhodnotil odpovědi společnosti na předložený seznam otázek, nicméně některé otázky zůstaly stále nedořešeny.

Výbor CHMP obvykle posoudí novou žádost do 210 dní. Na základě posouzení výchozí dokumentace výbor CHMP vypracuje seznam otázek (120. den), který je zaslán společnosti. Jakmile společnost předloží odpovědi na otázky, výbor CHMP je vyhodnotí a před vydáním stanoviska může společnosti položit další otázky (180. den). Poté, co výbor CHMP vydá své stanovisko, Evropská komise obvykle udělí registraci přibližně do dvou měsíců.

Jaké bylo doporučení výboru CHMP v dané době?

Na základě vyhodnocení dostupných údajů a odpovědí společnosti na seznam otázek v době stažení žádosti měl výbor CHMP určité pochybnosti a jeho prozatímní stanovisko bylo, že přípravek orBec nemůže být schválen k léčbě onemocnění gastrointestinálního traktu typu reakce štěpu proti hostiteli.

Čím byl výbor CHMP nejvíce znepokojen?

Výbor CHMP byl znepokojen skutečností, že v jediné hlavní studii nebyla prokázána účinnost přípravku orBec. Přípravek nebyl významně lepší než placebo v prodloužení doby do návratu onemocnění během 50denního léčebného období. Výbor CHMP také vyjádřil znepokojení nad tím, že většina pacientů, kteří se zúčastnili studie, pocházela z jednoho výzkumného centra, a proto nemohou být výsledky reprezentativní pro celou populaci. Výbor CHMP kromě toho upozornil na nedostatek údajů, které by ukázaly, jak účinná látka přípravku orBec působí v žaludku a střevech, pokud je užívána k léčbě onemocnění gastrointestinálního traktu typu reakce štěpu proti hostiteli. Proto výbor CHMP v době stažení žádosti zastával názor, že přínos přípravku orBec 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 orBec podáván v rámci zvláštní léčby z humánních důvodů (na základě principu tzv. compassionate use)?

Společnost informovala výbor CHMP, že stažení žádosti nemá žádné důsledky pro pacienty, kteří jsou v současné době zařazení do programů v rámci tzv. compassionate use s použitím přípravku orBec. Pokud jste zařazení do klinické studie nebo programu podávání přípravku v rámci zvláštní léčby z humánních důvodů (na základě principu tzv. compassionate use) a potřebujete získat více informací o své léčbě, obraťte se na lékaře, který vám přípravek podává.