

Londýn 19. února 2009
Dok. č. EMEA/246567/2009

Otázky a odpovědi týkající se stažení žádosti o vydání rozhodnutí o registraci přípravku Vorinostat MSD

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

Dne 13. února 2009 společnost Merck Sharp & Dohme Limited oficiálně oznámila Výboru pro humánní léčivé přípravky (CHMP), že se rozhodla stáhnout svou žádost o vydání rozhodnutí o registraci léčivého přípravku Vorinostat MSD určeného k léčbě dospělých s pokročilým kožním T-buněčným lymfomem. Přípravek Vorinostat MSD byl označen jako léčivý přípravek pro vzácná onemocnění dne 21. června 2004.

Co je Vorinostat MSD?

Vorinostat MSD je léčivý přípravek, který obsahuje léčivou látku vorinostat. Měl být k dispozici ve formě tobolek.

Na co měl být přípravek Vorinostat MSD používán?

Přípravek Vorinostat MSD měl být používán k léčbě dospělých s pokročilým kožním T-buněčným lymfomem (CTCL). CTCL je vzácný typ lymfomu (nádoru lymfatické tkáně), kdy některé bílé krvinky (T-buňky) proniknou do pokožky. Přípravek Vorinostat MSD měl být používán u pacientů, jejichž nádor vykazuje progresivní vývoj (zhoršuje se), přetrvává (pacienti nereagují na léčbu) nebo se opakuje (objevuje se opětovně) a kteří nereagovali na nejméně dvě jiné systémové léčby (léčby celého těla).

Jak měl přípravek Vorinostat MSD působit?

Léčivá látka v přípravku Vorinostat MSD, vorinostat, blokuje činnost proteinů zvaných deacetyláz histony, které se podílejí na „aktivaci“ a „deaktivaci“ genů v rámci buněk. U CTCL se očekávalo, že přípravek Vorinostat MSD zabrání tomu, aby geny, které potlačují dělení a růst nádorových buněk, byly ve vhodný okamžik „deaktivovány“. Očekávalo se, že dojde k omezení růstu a dělení T-buněk.

Jakou dokumentaci předložila společnost výboru CHMP na podporu své žádosti?

Účinky přípravku Vorinostat MSD byly nejprve testovány na experimentálních modelech a teprve poté na lidech.

Společnost předložila výsledky jedné hlavní studie, ve které byl přípravek Vorinostat MSD podáván 74 dospělým s pokročilým CTCL. Všichni pacienti trpěli progresivním, přetrvávajícím nebo opakujícím se onemocněním a již dříve u nich byly aplikovány dvě jiné systémové léčby. Přípravek Vorinostat MSD nebyl porovnáván s žádným jiným typem léčby. Hlavním měřítkem účinnosti byla změna toho, do jaké míry byla pokožka postižena onemocněním a jak vážně byla pokožka zasažena.

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

Společnost stáhla svou žádost 206. den od jejího podání. Výbor CHMP vyhodnotil odpovědi společnosti na předložený seznam otázek, nicméně některé otázky zůstaly stále nedoručené. 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 Vorinostat MSD nemůže být schválen k léčbě pokročilé CTCL.

Čím byl výbor CHMP nejvíce znepokojen?

Výbor byl znepokojen tím, jak byla hlavní studie navržena. Vzhledem k tomu, že přípravek Vorinostat MSD nebyl porovnáván s žádným jiným typem léčby, jeho bezpečnost a účinnost nemohla být dostatečně posouzena. Tato studie kromě toho nesledovala, jak dlouho pacienti přežívali. Výbor CHMP byl znepokojen nebezpečím tromboembolických příhod (problémů způsobených vytvořením krevních sraženin v krevních cévách) u pacientů užívajících přípravek Vorinostat MSD. Proto výbor v době stažení žádosti zastával názor, že přínos přípravku Vorinostat MSD nebyl dostatečným způsobem prokázán a že přínosy tohoto přípravku nepřevyšují zjištěná rizika.

Jaké důvody stažení žádosti uvedla společnost?

Dopis, v němž společnost uvědomuje agenturu EMEA o stažení žádosti, je uveřejněn na internetových stránkách agentury a je k dispozici [zde](#).

Jaké jsou důsledky stažení žádosti pro pacienty zařazené do klinických studií nebo do programů, v nichž je přípravek Vorinostat MSD podáván v rámci zvláštní léčby z humanitních 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 a do programů léčby pacientů se zvláštní potřebou s použitím přípravku Vorinostat MSD.

Pokud jste zařazení do klinické studie, programu podávání přípravku v rámci zvláštní léčby z humanitních důvodů (na základě principu tzv. compassionate use) nebo do programů léčby pacientů se zvláštní potřebou a potřebujete získat více informací o své léčbě, obraťte se na lékaře, který vám přípravek podává.