

Londýn 20. srpna 2009
Dok. č. EMEA/700528/2009
EMA/H/C/1069

**Otázky a odpovědi týkající se stažení žádosti o vydání rozhodnutí o registraci
přípravku
Bosatria
mepolizumab**

Dne 28. července 2009 společnost Glaxo Group Limited oficiálně oznámila Výboru pro humánní léčivé přípravky (CHMP), že se rozhodla stáhnout svou žádost o vydání rozhodnutí o registraci přípravku Bosatria určeného k léčbě dospělých pacientů s hypereozinofilním syndromem prostřednictvím snížení nebo vyloučení potřeby léčby kortikosteroidy a snížení počtu eozinofilů v krvi.

Co je Bosatria?

Bosatria je prášek pro přípravu infuzního roztoku (kapání do žíly). Obsahuje léčivou látku mepolizumab.

Na co měl být přípravek Bosatria používán?

Přípravek Bosatria měl být používán k léčbě dospělých pacientů s hypereozinofilním syndromem. Hypereozinofilní syndrom je onemocnění, při kterém nekontrolovatelně narůstá počet eozinofilů (určitého druhu bílých krvinek). Ty se hromadí ve tkáních mnoha orgánů a mohou některé z nich poškodit, například srdce, játra a plíce. Přípravek Bosatria měl být používán u pacientů trpících nedostatkem genu zvaného „fúzní gen FIP1L1-PDGFR“ ke snížení nebo vyloučení potřeby nasazení léčby kortikosteroidy (steroidy užívanými k léčbě tohoto onemocnění) a ke snížení počtu eozinofilů v krvi.

Přípravek Bosatria byl dne 29. července 2004 označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“ pro léčbu hypereozinofilního syndromu.

Jak by měl přípravek Bosatria působit?

Léčivá látka v přípravku Bosatria, mepolizumab, je monoklonální protilátka. Monoklonální protilátka je protilátka (typ bílkoviny), která byla vyvinuta tak, aby rozpoznala zvláštní strukturu (zvanou antigen) nacházející se v těle a navázala se na ni. Mepolizumab byl vytvořen tak, aby se navázal na chemického posla zvaného interleukin 5 (IL-5), který se podílí na růstu eozinofilů. Vazbou na IL-5 měl mepolizumab omezovat akumulaci eozinofilů v krvi a zmírňovat díky tomu příznaky u pacientů s hypereozinofilním syndromem.

Jakou dokumentaci předložila společnost výboru CHMP na podporu své žádosti?

Účinky přípravku Bosatria byly nejprve testovány na experimentálních modelech a teprve poté na lidech. V jedné hlavní studii zahrnující 85 dospělých pacientů s hypereozinofilním syndromem byl přípravek Bosatria porovnáván s placebem (léčbou neúčinným přípravkem). Všichni pacienti trpěli nedostatkem fúzního genu FIP1L1-PDGFR a byli léčeni prednisonem (kortikosteroidem), který pomáhal stabilizovat jejich příznaky. V rámci této studie užívali pacienti buď přípravek Bosatria, nebo placebo a dávka prednisonu, kterou pacienti dostávali, se postupně snižovala. Hlavním měřítkem účinnosti byl počet pacientů, u kterých bylo možné po dobu 8 týdnů snížit denní dávku prednisonu na 10 mg a méně.

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 neobjasněné.

Výbor CHMP obvykle posoudí novou žádost o registraci 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 vydá své rozhodnutí o tomto stanovisku přibližně do dvou měsíců.

Jaké bylo doporučení výboru CHMP v dané době?

Na základě vyhodnocení údajů a odpovědí společnosti na seznam otázek předložený výborem CHMP měl výbor CHMP v čase stažení žádosti určité pochybnosti a zastával prozatímní stanovisko, že přípravek Bosatria nemůže být schválen k léčbě dospělých pacientů s hypereozinofilním syndromem a nedostatkem fúzního genu FIP1L1-PDGFR prostřednictvím snížení nebo vyloučení potřeby léčby kortikosteroidy a snížení počtu eozinofilů v krvi.

Čím byl výbor CHMP nejvíce znepokojen?

Výbor CHMP byl toho názoru, že hlavní studie neposkytla dostatečné důkazy o účinnosti přípravku Bosatria v rámci snížení potřeby kortikosteroidní léčby. Výbor CHMP rovněž znepokojovala nevhodnost metody, kterou společnost použila ke stanovení množství různých forem léčivé látky v přípravku. Proto v době stažení žádosti zastával výbor CHMP názor, že přínosy přípravku Bosatria v rámci léčby dospělých pacientů s hypereozinofilním syndromem a nedostatkem fúzního genu FIP1L1-PDGFR prostřednictvím snížení nebo vyloučení potřeby léčby kortikosteroidy a snížení počtu eozinofilů v krvi nepřevyšují jeho rizika.

Jaké důvody ke stažení žádosti společnost uvedla?

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 Bosatria podáván v rámci zvláštní léčby z humánních důvodů (na základě principu tzv. compassionate use)?

Společnost informovala výbor CHMP, že přípravek Bosatria bude pacientům zařazeným do otevřené prodloužené studie a do programů s podáváním léčiv z humánních důvodů nadále k dispozici. Pokud jste však zařazení do klinické studie nebo do programu s podáváním léčiv v rámci zvláštní léčby z humánních důvodů a potřebujete získat více informací o své léčbě, obraťte se na svého lékaře, který Vám přípravek podává.

Shrnutí stanoviska k přípravku Bosatria vydaného Výborem pro léčivé přípravky pro vzácná onemocnění je k dispozici [zde](#).