

21. února 2014
EMA/92957/2014
EMA/H/C/002603

Otázky a odpovědi

Stažení žádosti o vydání rozhodnutí o registraci přípravku Heplisav (vakcíny proti hepatitidě B (rDNA), adjuvované)

Dne 10. února 2014 společnost Dynavax International B.V. oficiálně oznámila Výboru pro humánní léčivé přípravky (CHMP), že se rozhodla stáhnout svou žádost o vydání rozhodnutí o registraci přípravku Heplisav určeného k prevenci infekce hepatitidou B.

Co je Heplisav?

Heplisav je vakcína, která obsahuje povrchový antigen hepatitidy B, bílkovinu z vnějšího pláště viru hepatitidy B. Přípravek měl být dostupný ve formě injekčního roztoku.

K čemu měl být přípravek Heplisav používán?

Přípravek Heplisav měl být používán k ochraně před infekcí hepatitidou B u dospělých.

Jak by měl přípravek Heplisav působit?

Vakcíny působí tak, že „učí“ imunitní systém (přirozený obranný systém těla), jak se má sám bránit proti onemocnění. Přípravek Heplisav obsahuje povrchový antigen hepatitidy B (bílkovinu z vnějšího pláště viru hepatitidy B). Jakmile dojde k podání vakcíny, imunitní systém očkované osoby rozpozná virovou bílkovinu jako „cizorodou“ a vytváří si proti ní protilátky. Pokud se imunitní systém znovu dostane do kontaktu s virem, bude schopen vytvářet protilátky rychleji. To může pomoci při ochraně proti onemocnění vyvolanému virem hepatitidy B.

Povrchový antigen hepatitidy B se vyrábí postupem zvaným „technologie rekombinantní DNA“: je vytvářen kvasinkovými buňkami, do kterých byl vložen gen (DNA), který jim propůjčuje schopnost tuto bílkovinu vytvářet. Vakcína obsahuje „adjuvans“ pro zvýšení imunitní odpovědi.

Jakou dokumentaci předložila společnost na podporu své žádosti?

Společnost předložila výsledky tří hlavních studií, do kterých bylo zařazeno přes 4 000 jedinců, kteří nikdy neměli hepatitidu B ani proti ní nebyli očkováni; dvě studie zahrnovaly zdravé jedince a jedna zahrnovala pacienty s dlouhodobým onemocněním ledvin. Ve všech třech studiích byl přípravek Heplisav porovnáván s jinou vakcínou proti hepatitidě B, přípravkem Engerix-B. Hlavním měřítkem účinnosti byl procentuální podíl pacientů, u nichž se po provedení očkování vytvořila ochranná hladina protilátek proti viru hepatitidy B.

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

Žádost byla stažena poté, co výbor CHMP posoudil dokumentaci předloženou společností a vypracoval seznamy otázek. V době stažení žádosti nebyla poslední sada otázek společností ještě zodpovězena.

Jaké bylo doporučení výboru CHMP v dané době?

Na základě vyhodnocení údajů měl výbor CHMP v době stažení žádosti určité pochybnosti a jeho prozatímní stanovisko bylo, že přípravek Heplisav nemůže být schválen k prevenci hepatitidy B.

Výbor zastával názor, že způsob, jakým byla studie u pacientů s onemocněním ledvin provedena a dokumentována, nebyl uspokojivý. Tento názor vycházel z inspekce na některých pracovištích zapojených do studie, která měla ověřit dodržování odpovídajících standardů studií s léčivými přípravky (správné klinické praxe). Z povahy zjištění inspekce vyplynuly také otázky týkající se dalších hlavních studií. V tomto ohledu tudíž existovaly závažné nejasnosti ohledně spolehlivosti údajů předložených na podporu žádosti. Navíc počet pacientů, u nichž byla testována bezpečnost léčivého přípravku, nestačil k tomu, aby bylo možné vyloučit nepřijatelnou míru rizika méně častých, ale závažných nežádoucích účinků.

Výbor CHMP proto v době stažení žádosti zastával názor, že na základě údajů předložených společností nelze léčivý přípravek schválit.

Jaké důvody stažení žádosti uvedla společnost?

Ve svém dopise oznamujícím agentuře stažení žádosti společnost uvedla, že stahuje žádost proto, že v rámci časového plánu vyžadovaného postupem nebude možné předložit dodatečné údaje o bezpečnosti.

Dopis ohledně stažení žádosti je k dispozici [zde](#).

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

Společnost informovala výbor CHMP, že v EU neprobíhají žádné klinické studie nebo programy, v nichž je přípravek Heplisav podáván v rámci léčby z humanitárních důvodů.