

14. prosince 2012
EMA/20324/2013
EMA/H/C/2259

Otázky a odpovědi

Stažení žádosti o vydání rozhodnutí o registraci přípravku Jenzyl (ridaforolimus)

Dne 27. listopadu 2012 společnost Merck Sharp & Dohme Limited oficiálně oznámila Výboru pro humánní léčivé přípravky (CHMP), že se rozhodla stáhnout svou žádost o vydání rozhodnutí o registraci přípravku Jenzyl určeného k udržovací léčbě pacientů s metastatickým sarkomem měkkých tkání nebo sarkomem kostí, kteří již byli léčeni chemoterapií.

Co je Jenzyl?

Jenzyl je léčivý přípravek obsahující léčivou látku ridaforolimus. K dispozici byl ve formě 10mg tablet.

K čemu měl být přípravek Jenzyl používán?

Přípravek Jenzyl měl být používán k léčbě dospělých se sarkomem měkkých tkání (typem nádorového onemocnění, které postihuje měkké opěrné tkáně těla) nebo sarkomem kostí (rakoviny kostí), který je metastatický (rozšířil se do dalších částí těla).

Přípravek měl být používán jako udržovací terapie u pacientů, kteří již byli léčeni dvěma nebo třemi režimy chemoterapie.

Přípravek Jenzyl byl označen jako léčivý přípravek pro vzácná onemocnění k léčbě sarkomu měkkých tkání dne 26. srpna 2005 a k léčbě primárních maligních nádorů kostí dne 28. října 2005.

Jak by měl přípravek Jenzyl působit?

Léčivá látka v přípravku Jenzyl, ridaforolimus, blokuje působení enzymu zvaného „cílové místo rapamycinu u savců“ (mTOR), který reguluje růst a dělení buněk v těle a který má u pacientů se sarkomem zvýšenou aktivitu. V těle se ridaforolimus váže na protein zvaný FKBP-12, který se nachází uvnitř buněk, a společně s ním vytváří „komplex“. Tento komplex pak blokuje mTOR. Jelikož se mTOR podílí na kontrole dělení buněk a růstu krevních cév, ridaforolimus zabraňuje dělení nádorových buněk

a omezuje množství krve, které do nich proudí. Předpokládá se, že se tím zpomaluje růst a proliferace (dělení) nádorových buněk.

Jakou dokumentaci předložila společnost na podporu své žádosti?

Společnost předložila výsledky jedné hlavní studie zahrnující 711 pacientů s metastatickým sarkomem měkkých tkání nebo sarkomem kostí, kteří již byli léčeni až čtyřmi cykly jednoho, dvou nebo tří alternativních chemoterapeutických režimů. V této studii byl přípravek Jenzyl srovnáván s placebem (léčbou neúčinným přípravkem). Hlavním měřítkem účinnosti byla doba, po kterou pacienti přežívali bez zhoršení onemocnění.

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

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

Jaké bylo doporučení výboru CHMP v dané době?

Na základě vyhodnocení dostupných údajů a odpovědí společnosti na seznam otázek výboru CHMP měl výbor CHMP v době stažení žádosti určité pochybnosti. Jeho prozatímní stanovisko bylo, že přípravek Jenzyl nemůže být schválen k léčbě pacientů s metastatickým sarkomem měkkých tkání nebo sarkomem kostí jako udržovací léčba.

Výbor CHMP vyjádřil také obavu, že užívání přípravku Jenzyl vede k pouze malému prodloužení přežití do zhoršení onemocnění ve srovnání s placebem (18 oproti 15 týdnům u pacientů, kteří již byli léčeni jedním nebo více režimy chemoterapie, a 16 oproti 10 týdnům u pacientů, kteří již byli léčeni dvěma nebo třemi chemoterapeutickými režimy). Výbor CHMP považoval tento přínos za mírný vzhledem k tomu, že pacienti obvykle přežívají dlouhou dobu po zhoršení onemocnění. Výbor CHMP byl také toho názoru, že poněkud větší účinek pozorovaný u pacientů, kteří již byli léčeni dvěma nebo třemi režimy chemoterapie, ve srovnání s těmi, kteří byli léčeni jedním nebo více režimy, nemusí být odrazem skutečného účinku léčivého přípravku, jelikož není zřejmý důvod, proč by měl léčivý přípravek lépe fungovat v pozdějších stádiích onemocnění. Co se týče bezpečnosti, výbor CHMP byl znepokojen vysokou frekvencí nežádoucích účinků, které narušují pohodu pacienta, i některými méně častými, ale potenciálně život ohrožujícími nežádoucími účinky.

Výbor CHMP proto v době stažení žádosti zastával názor, že přínosy přípravku Jenzyl nepřevyšují jeho rizika.

Jaké důvody stažení žádosti uvedla společnost?

V dopise, kterým uvědomuje agenturu o stažení žádosti, společnost uvedla, že se rozhodla žádost stáhnout, jelikož výbor CHMP je toho názoru, že poskytnuté údaje mu neumožňují učinit závěr o pozitivním poměru přínosů a rizik.

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

Jaké jsou důsledky stažení žádosti pro pacienty zařazené do klinických studií?

Společnost informovala výbor CHMP, že stažení žádosti nemá žádné důsledky pro pacienty, kteří jsou v současné době zařazení do klinických studií, v nichž je přípravek Jenzyl podáván.

Pokud jste zařazeni do klinické studie a potřebujete získat více informací o své léčbě, kontaktujte lékaře, který vám přípravek podává.

Shrnutí stanoviska k přípravku Jenzyl vydaného Výborem pro léčivé přípravky pro vzácná onemocnění je k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation) ([sarkom měkkých tkání](#) a [primární maligní nádory kostí](#)).