

Londýn 22. října 2009
Dok. ref. EMEA/745169/2009
EMA/H/C/994

**Otázky a odpovědi týkající se stažení žádosti o vydání rozhodnutí o registraci
přípravku
Opaxio
*paklitaxel poliglumex***

Dne 21. září 2009 společnost CTI Life Sciences Ltd oficiálně oznámila Výboru pro humánní léčivé přípravky (CHMP), že se rozhodla stáhnout svou žádost o vydání rozhodnutí o registraci přípravku Opaxio určeného k léčbě první volby u pacientů s pokročilým nemalobuněčným karcinomem plic, kteří mají výkonnostní stav dle ECOG na stupni 2.

Co je Opaxio?

Přípravek Opaxio je prášek pro přípravu infuzního roztoku (kapání do žíly). Obsahuje léčivou látku paklitaxel poliglumex.

Na co měl být přípravek Opaxio používán?

Přípravek Opaxio měl být používán u pacientů s pokročilým nemalobuněčným karcinomem, kteří mají výkonnostní stav dle ECOG na stupni 2. Výkonnostní skóre ECOG je měřítko uvádějící míru, do jaké je onkologický pacient nemocen. Skóre výkonnostního stavu na stupni 2 znamená, že pacient je schopen se o sebe postarat bez cizí pomoci, avšak je příliš nemocný na to, aby jakkoli pracoval.

Jak by měl přípravek Opaxio působit?

Má se za to, že paklitaxel poliglumex, léčivá látka v přípravku Opaxio, se v nádorových buňkách přeměňuje na paklitaxel. Paklitaxel působí tak, že blokuje schopnost rakovinných buněk rozdělit svou vnitřní „kostru“, která jim umožňuje dělit se a množit. Jakmile kostra zůstává celá, buňka se nemůže rozdělit a nakonec umírá.

Paklitaxel je protinádorový lék a v Evropské unii je dostupný od roku 1993. V přípravku Opaxio je paklitaxel navázán na poliglumex, díky čemuž se lépe rozpouští.

Jakou dokumentaci předložila společnost výboru CHMP na podporu své žádosti?

Účinky přípravku Opaxio byly nejprve testovány na experimentálních modelech a teprve poté na lidech. Společnost předložila výsledky jedné hlavní studie zahrnující 477 pacientů s pokročilým nemalobuněčným karcinomem plic a s výkonnostním skóre 2. V této studii byl přípravek Opaxio srovnáván s gemcitabinem nebo vinorelbinem (dvěma dalšími protinádorovými přípravky). Hlavním měřítkem účinnosti byla doba přežití pacientů.

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 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 dostupných údajů a odpovědí společnosti na seznam otázek v době stažení žádosti měl výbor CHMP určité pochybnosti a jeho prozatímní stanovisko bylo, že přípravek Opaxio nemůže být schválen k léčbě první volby u pacientů s pokročilým nemalobuněčným karcinomem plic, kteří mají výkonnostní stav dle ECOG na stupni 2.

Čím byl výbor CHMP nejvíce znepokojen?

Výbor CHMP konstatoval, že hlavní studie neprokázala účinnost přípravku Opaxio u pacientů s pokročilým nemalobuněčným karcinomem plic a s výkonnostním skóre na stupni 2. Náзор společnosti, že studie prokázala, že přípravek Opaxio je přinejmenším stejně dobrý jako srovnávané léčivé přípravky, nebyl výborem CHMP přijat, neboť nebylo zřejmé, že samotné srovnávané přípravky jsou účinné u typu pacientů zařazených do hlavní studie. Studie navíc neprokázaly, že přípravek Opaxio je účinnější než dva srovnávané přípravky.

Výbor CHMP měl také obavy z vedlejších účinků léku, a to zejména z neuropatie (poškození nervů) a nevysvětlených úmrtí. Vyskytly se rovněž obavy ohledně nečistot v léčivém přípravku a také způsobu, jakým je paklitaxel po podání přípravku Opaxio uvolňován a distribuován v těle.

Jaké důvody ke stažení žádosti společnost uvedla?

Dopis, v němž společnost uvědomuje výbor CHMP 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 Opaxio podáván v rámci zvláštní léčby z humanitních důvodů (na základě principu tzv. compassionate use)?

Společnost informovala výbor CHMP, že stažení žádosti nemá žádný vliv na pacienty v Evropské unii (EU), jelikož v EU v současné době neprobíhají žádné klinické studie nebo programy, v nichž je tento přípravek podáván v rámci zvláštní léčby z humanitních důvodů (na základě principu tzv. compassionate use).

Mimo EU však společnost pokračuje ve zkoumání přípravku Opaxio u několika typů nádorů, včetně ovariálních nádorů, nádorů jícnu a nemalobuněčného karcinomu plic.