

18. března 2010
EMA/265124/2010
EMA/H/C/1115

Otázky a odpovědi

Stažení žádosti o vydání rozhodnutí o registraci přípravku Tyvaso (treprostinil sodný)

Dne 17. února 2010 společnost United Therapeutics Europe Ltd oficiálně oznámila Výboru pro humánní léčivé přípravky (CHMP), že se rozhodla stáhnout svou žádost o vydání rozhodnutí o registraci přípravku Tyvaso určeného k doplňkové léčbě u pacientů s plicní arteriální hypertenzí.

Co je Tyvaso?

Tyvaso je léčivý přípravek, který obsahuje léčivou látku treprostinil sodný. Měl být k dispozici ve formě roztoku do rozprašovače.

Na co měl být přípravek Tyvaso používán?

Přípravek Tyvaso měl být používán k léčbě pacientů s plicní arteriální hypertenzí (PAH) ke zlepšení fyzické výkonnosti (schopnost vykonávat tělesnou aktivitu). PAH je abnormálně vysoký krevní tlak v plicních tepnách.

Přípravek Tyvaso měl být používán u pacientů s PAH klasifikovaných jako „funkční třída III dle New York Heart Association“, kteří byli rovněž léčeni buď antagonisty endotelinových receptorů nebo inhibitory fosfodiesterázy 5 (jiné léky pro léčbu PAH). Funkční třída odráží míru závažnosti PAH: třída III znamená významné omezení tělesné aktivity. Přípravek Tyvaso měl být podáván inhalačně tak, že pacient vdechuje lék přímo do plic.

Přípravek Tyvaso byl dne 14. dubna 2004 označen jako léčivý přípravek pro vzácná onemocnění pro léčbu plicní arteriální hypertenze.

Jak by měl přípravek Tyvaso působit?

PAH je zeslabující onemocnění, při němž dochází k závažnému zúžení krevních cév v plicích. Způsobuje vysoký krevní tlak v cévách, které přivádějí krev ze srdce do plic. Tento tlak snižuje množství kyslíku, které může proniknout do krve, což ztěžuje fyzickou aktivitu.

Léčivá látka přípravku Tyvaso, treprostinil sodný, je analog prostacyklinu, molekuly, která se přirozeně vyskytuje v organismu a vyvolává rozšíření krevních cév. Předpokládá se, že při inhalaci treprostinil sodný rozšiřuje krevní cévy v plicích, což by mohlo vést ke snížení abnormálně vysokého krevního tlaku v plicních tepnách.

Jakou dokumentaci předložila společnost na podporu své žádosti?

Vzhledem k tomu, že léky obsahující treprostinil jsou v Evropě k dispozici od roku 2005, použila společnost k podpoře používání přípravku Tyvaso některé z těchto údajů. Společnost předložila výsledky jedné hlavní studie zahrnující 235 pacientů s PAH, kteří rovněž užívali buď antagonistu endotelinových receptorů, nebo inhibitor fosfodiesterázy 5. Pacientům byl jako přídavná léčba ke stávající terapii podáván buď přípravek Tyvaso, nebo placebo (léčba neúčinným přípravkem). Hlavním měřítkem účinnosti byla změna vzdálenosti, kterou byli pacienti schopni ujít za dobu 6 minut po 12 týdnech léčby.

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

Společnost stáhla svou žádost po 181. dnu. To znamená, že výbor CHMP posoudil dokumentaci předloženou společností a vypracoval seznam otázek. Výbor CHMP vyhodnotil odpovědi společnosti na poslední sérii otázek, nicméně některé otázky zůstaly nedořešeny.

Jaké bylo doporučení výboru CHMP v dané době?

Na základě vyhodnocení dostupných údajů a odpovědí společnosti na seznamy otázek v době stažení žádosti měl výbor CHMP určité pochybnosti. Výbor CHMP byl znepokojen především skutečností, že inspekce obou míst, kde byla jediná hlavní studie provedena, prokázaly, že studie nebyla provedena v souladu se správnou klinickou praxí (GCP). Výsledky této studie tudíž nebyly považovány za věrohodné a výbor CHMP dospěl k názoru, že přípravek nemůže být na základě údajů, které předložila společnost, schválen.

Jaké důvody stažení žádosti uvedla společnost?

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

Společnost informovala výbor CHMP, že v době stažení žádosti probíhala v Evropě jedna klinická studie a že přípravek Tyvaso byl rovněž podáván v jednom odborném centru v Německu v rámci programu s podáváním léčiv z humanitních důvodů. Léčba těchto pacientů bude pokračovat, dokud nebudou k dispozici alternativní léčebné možnosti.

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