

21. září 2018
EMA/621972/2018
EMA/H/C/004355

Zamítnutí registrace přípravku Exondys (eteplirsén)

Výsledek přezkoumání

Dne 31. května 2018 přijal Výbor pro humánní léčivé přípravky (CHMP) záporné stanovisko ve věci registrace léčivého přípravku Exondys určeného k léčbě Duchennovy svalové dystrofie a doporučil registraci tohoto přípravku zamítnout. Společnost AVI Biopharma International Ltd, která podala žádost o registraci, dne 1. června 2018 požádala o přezkoumání stanoviska výboru CHMP.

Výbor CHMP poté, co posoudil důvody této žádosti, přezkoumal původní stanovisko a dne 20. září 2018 potvrdil zamítnutí registrace.

Co je Exondys?

Exondys je léčivý přípravek, který obsahuje léčivou látku eteplirsén. Měl být k dispozici ve formě koncentrátu pro infuzní roztok (kapání) do žíly.

K čemu měl být přípravek Exondys používán?

Přípravek Exondys měl být používán k léčbě Duchennovy svalové dystrofie u pacientů ve věku od 4 let s mutací (změnou) v genu Duchennovy svalové dystrofie, který umožňuje léčbu zahrnující „vynechání exonu 51“. To znamená, že gen Duchennovy svalové dystrofie může u pacientů vytvořit funkční formu bílkoviny dystrofinu, pokud se část genu zvaného exon 51 nepoužívá.

Přípravek Exondys byl označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“ dne 3. prosince 2008. Přípravek měl být určen k léčbě Duchennovy svalové dystrofie. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete [zde](#).

Jak přípravek Exondys působí?

Pacienti s Duchennovou svalovou dystrofií nevytvářejí bílkovinu zvanou dystrofin. Tento léčivý přípravek umožňuje přeskočit exon 51 a tím podpořit tvorbu zkrácené formy dystrofinu. Očekává se, že tato zkrácená bílkovina působí podobně jako normální dystrofin, přičemž pomáhá tělu vykompenzovat nedostatek dystrofinu a tím zmírnit příznaky Duchennovy svalové dystrofie.

Jakou dokumentaci předložila společnost na podporu své žádosti?

Společnost předložila výsledky dvou hlavních studií zahrnujících 12 chlapců ve věku od 7 do 13 let s Duchennovou svalovou dystrofií, kteří měli genetickou mutaci umožňující vynechání exonu 51. V první studii byl přípravek Exondys porovnáván s placebem (neúčinným přípravkem) po dobu prvních 24 týdnů a poté byli všichni pacienti léčeni přípravkem Exondys. Hlavním měřítkem účinnosti byla změna ušlé vzdálenosti během 6minutového testu chůze provedeného po 24 týdnech.

Druhá studie, která byla prodloužením první studie, zahrnovala stejné pacienty, kteří byli všichni léčeni přípravkem Exondys po dobu dalších 4 let.

Společnost rovněž porovnávala výsledky těchto studií s různými údaji z minulosti.

Jaké byly hlavní důvody, na jejichž základě výbor CHMP registraci zamítl?

Výbor CHMP vyjádřil obavy nad tím, že hlavní studie, která zahrnovala pouze 12 pacientů, srovnávala přípravek Exondys s placebem pouze po dobu 24 týdnů, během které nebyl zaznamenán žádný významný rozdíl mezi přípravkem Exondys a placebem z hlediska vzdálenosti, kterou pacienti ušli během 6 minut. Metody porovnávání výsledků hlavních studií s údaji z minulosti nebyly uspokojivé z hlediska toho, aby bylo prokázáno, že je léčivý přípravek účinný. Výbor usoudil, že je zapotřebí dalších údajů, které by prokázaly, že velmi malé množství zkráceného dystrofinu, které vzniklo v důsledku léčby přípravkem Exondys, přináší pacientům trvalý přínos.

Proto byl výbor CHMP toho názoru, že poměr přínosů a rizik přípravku Exondys v rámci léčby Duchennovy svalové dystrofie nelze stanovit a doporučil registraci zamítnout. Zamítnutí výbor CHMP potvrdil i po přezkoumání.

Jaké jsou důsledky zamítnutí registrace pro pacienty zařazené do klinických studií?

Společnost informovala výbor CHMP, že zamítnutí registrace nemá žádné důsledky pro pacienty, kteří jsou v současné době zařazení do klinických studií s přípravkem Exondys.

Pokud jste zařazení do klinické studie a potřebujete získat více informací o své léčbě, obraťte se na svého ošetřujícího lékaře v rámci studie.