



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2018. március 23.
EMA/165563/2018
EMA/H/C/000332

Az Aranesp-re (alfa-darbepoetin) vonatkozó forgalombahozatali engedély módosítása iránti kérelem visszavonása

2018. február 21-én az Amgen Europe B.V. hivatalosan értesítette az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottságát (CHMP), hogy vissza szeretné vonni a meglévő forgalombahozatali engedélynek a mielodiszpláziás szindrómában szenvedő felnőtt betegek anémiájának kezelésére történő kiterjesztése iránti kérelmét.

Milyen típusú gyógyszer az Aranesp?

Az Aranesp olyan gyógyszer, amelyet már alkalmaznak a következő betegcsoportoknál tüneteket okozó anémia (alacsony vörösvértestszám) kezelésére:

- „krónikus veseelégtelenségben” (a veseműködés hosszú távú, progresszív romlása) szenvedő felnőttek és gyermekek;
- a „nem mieloid” (nem a csontvelőből kiinduló) rák miatt kemoterápiás kezelésben részesülő felnőttek.

Az Aranesp 2001 júniusa óta rendelkezik engedéllyel. A gyógyszer hatóanyaga az alfa-darbepoetin.

Az Aranesp jelenlegi alkalmazására vonatkozó további információ az Ügynökség weboldalán található: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).

Milyen alkalmazásra szánták az Aranesp-et?

Az Aranesp-et a mielodiszpláziás szindrómában, a csontvelőbetegségek egy csoportjában szenvedő betegek anémiájának kezelésére is szánták. A gyógyszert olyan betegek részére szánták, akiknek nincs szükségük rendszeres vérátömlesztésre, és akik alacsony vagy közepes kockázattal rendelkeznek arra nézve, hogy a betegségük akut mieloid leukémiába (AML, egy fehérvérsejteket érintő ráktípus) fordul át.



Hogyan fejt ki hatását az Aranesp?

A mielodiszpláziás szindrómában szenvedő betegek anémiájának kezelésében az Aranesp-től ugyanolyan hatásmechanizmust vártak, mint a már meglévő javallat esetében. Az Aranesp hatóanyaga, az alfa-darbepoetin pontosan úgy hat, mint a vesék által előállított, a vörösvérsejt-termelődést serkentő természetes eritropoietin, de szerkezete kis mértékben eltér attól. Az alfa-darbepoetinnek hosszabb a hatástartama, és kevésbé gyakran kell adni, mint a természetes eritropoetint. Az eritropoetinhez hasonlóan az Aranesp több vörösvértest előállítására serkenti a szervezetet, és így kezeli az anémiát.

Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a kérelem alátámasztására?

A kérelmező két, 356 mielodiszpláziás szindrómában szenvedő anémiás beteg részvételével végzett fő vizsgálatból származó adatokat mutatott be. Az első vizsgálat a Aranesp-et placebóval (hatóanyag nélküli kezeléssel) hasonlította össze 24 héten keresztül. A fő hatékonysági mutató a vörösvérsejt-transzfúziók számának csökkenése volt. A második vizsgálatban minden beteg Aranesp-et kapott 13 héten keresztül, és a vizsgálat során a hemoglobinnak, a vörösvértestek fő összetevőjének a szintjét mérték a vérben.

A visszavonás előtt meddig jutott el a kérelem az elbírálási folyamatban?

A kérelmet azt követően vonták vissza, hogy a CHMP már értékelte a vállalat által eredetileg benyújtott dokumentációt, és kidolgozott egy kérdéslisztát. A vállalat a visszavonás időpontjában még nem válaszolt a kérdésekre.

Mit tartalmazott a CHMP ajánlása az adott időpontban?

A visszavonás időpontjában az adatok áttekintése alapján a CHMP részéről néhány aggály merült fel, és az volt az ideiglenes véleménye, hogy az Aranesp alkalmazása nem engedélyezhető a mielodiszpláziás szindrómában szenvedő felnőtt betegek anémiájának kezelésére.

A CHMP azon a véleményen volt, hogy a vizsgálati terv módosítása, valamint a nagyszámú beteg kizárása az eredmények elemzéséből kérdéseket vet fel az adatok érvényességével kapcsolatban. Ezenfelül az egyik Egyesült Államokban végzett vizsgálat nem volt összhangban a mielodiszpláziás szindrómában szenvedő betegek kezelésére vonatkozó uniós ajánlásokkal.

Ezért a visszavonás időpontjában a CHMP véleménye az volt, hogy a vizsgálat eredményei nem tekinthetők megbízhatónak, és a CHMP arra a következtetésre jutott, hogy a vállalat által benyújtott adatok alapján a gyógyszer forgalmazása nem engedélyezhető.

Mivel indokolta a vállalat a kérelem visszavonását?

Az Ügynökséget a kérelem visszavonásáról értesítő levelében a vállalat úgy nyilatkozott, hogy a visszavonás a CHMP azon véleményén alapul, miszerint a benyújtott klinikai adatok alapján a bizottság nem tudja engedélyezni a mielodiszpláziás szindrómában való alkalmazását.

A visszavonásról szóló levél [itt](#) olvasható.

Milyen következményekkel jár a visszavonás azokra a betegekre nézve, akik részt vesznek a klinikai vizsgálatokban?

A vállalat tájékoztatta a CHMP-t, hogy az Aranesp-pel kapcsolatban jelenleg nem folytatnak az Amgen által szponzorált klinikai vizsgálatokat.

Ha Ön klinikai vizsgálatban vesz részt, és kezelését illetően további információra van szüksége, vegye fel a kapcsolatot kezelőorvosával.

Mi történik a Aranesp-pel az engedélyezett javallatai vonatkozásában?

Az Aranesp engedélyezett javallatokban való alkalmazására nézve nincsenek következmények.