



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2014. november 21.
EMA/706787/2014
EMA/H/C/000334/II/79

Kérdések és válaszok

A Ceprotin-ra (humán protein C) vonatkozó forgalomba hozatali engedély módosítása iránti kérelem visszavonása

2014. október 22-én a Baxter AG hivatalosan értesítette az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottságát (CHMP), hogy vissza kívánja vonni a Ceprotin új javallatára, a szerzett protein C hiány kezelésére vonatkozó kérelmét.

Milyen típusú gyógyszer a Ceprotin?

A Ceprotin súlyos veleszületett (örökölt) protein C hiányban szenvedő betegek kezelésére és ezeknél a betegeknél a véralvadás rövid távú megelőzésére szolgáló gyógyszer. Részletes információk a Ceprotin Európai Unióban (EU) engedélyezett alkalmazásáról [itt](#) található.

A Ceprotin humán protein C hatóanyagot tartalmaz. Alkalmazása 2001 júliusa óta engedélyezett az EU-ban.

Milyen alkalmazásra szánták a Ceprotin-t?

A Ceprotin-t a „szerzett” protein C hiányban szenvedő betegeknél való alkalmazásra is szánták. A „szerzett” azt jelenti, hogy a betegség nem öröklött, hanem a beteg élete során alakul ki. Különböző okai lehetnek, például súlyos fertőzés, májbetegség vagy K-vitamin hiány.

Milyen hatásmechanizmust várnak a Ceprotin-tól?

A Ceprotin humán protein C-t tartalmaz, amelyet emberi vérplazmából (ez a vér folyékony része) vonnak ki és utána tisztítják. A szervezetben a protein C szabályozza a trombin termelődését. Ez az egyik olyan fehérje, ami a véralvadás folyamatában játszik szerepet. A protein C lassítja a trombin termelődését és ezzel a véralvadás sebességét is. A Ceprotin injekció azonnali, de ideiglenes protein C-szint növekedést idéz elő és így csökkenti a véralvadási zavarokat protein C hiányos betegeknél.



Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a kérelem alátámasztására?

A kérelmező két fő vizsgálatból származó adatokat mutatott be, amelyekbe összesen 52 olyan gyermeket vontak be, akiknél súlyos fertőzés következtében protein C hiány alakult ki, és amelyekben a Ceprotin-t placebóval (hatóanyag nélküli kezeléssel) hasonlították össze. Egy, 94 veleszületett vagy szerzett protein C hiányban szenvedő gyermek egészségügyi nyilvántartásából származó adatokból készített visszatekintő tanulmány eredményei is bemutatásra kerültek.

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

A kérelmet akkor vonták vissza, amikor a CHMP még a vállalat által eredetileg benyújtott dokumentáció értékelését végezte.

Mit tartalmazott a CHMP ajánlása az adott időpontban?

Mivel a CHMP a vállalat által eredetileg benyújtott dokumentációt értékelte, ekkor még semmilyen ajánlást nem tett.

Mivel indokolta a vállalat a kérelem visszavonását?

Az Ügynökséget a kérelem visszavonásáról értesítő levelében a vállalat azt állítja, hogy azért vonta vissza a kérelmét, mert az előzetes felmérésében a CHMP kiegészítő klinikai adatokat kért annak alátámasztására, hogy a Ceprotin a szerzett protein C hiányos betegek esetében is hatékony.

A vállalatnak az Ügynökséget a kérelem visszavonásáról értesítő levele [itt](#) található.

Milyen következményekkel jár a visszavonás azokra a betegekre nézve, akik részt vettek a klinikai vizsgálatokban vagy az engedélyezés előtti kezelési programokban?

A vállalat tájékoztatta a CHMP-t arról, hogy a visszavonásnak a Ceprotin-nal végzett klinikai vizsgálatokban vagy engedélyezés előtti kezelési programokban jelenleg részt vevő betegekre nézve nincsenek következményei.

Ha Ön ilyen klinikai vizsgálatban vagy engedélyezés előtti kezelési programban vesz részt, és kezelését illetően további információra van szüksége, vegye fel a kapcsolatot kezelőorvosával!

Mi történik a Ceprotin-nal a súlyos öröklött protein C hiány kezelése vonatkozásában?

A Ceprotin engedélyezett javallatokban való alkalmazására nézve nincsenek következmények.

A Ceprotin-ra vonatkozó teljes EPAR (Európai nyilvános értékelő jelentés) az Ügynökség weboldalán található: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports.