



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

21 listopada 2014 r.
EMA/706787/2014
EMA/H/C/000334/11/79

Pytania i odpowiedzi

Wycofanie wniosku o zmianę warunków pozwolenia na dopuszczenie do obrotu dla produktu Ceprotin (ludzkie białko C)

W dniu 22 października 2014 r. firma Baxter AG oficjalnie powiadomiła Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) o zamiarze wycofania wniosku o dodanie nowego wskazania do stosowania produktu Ceprotin w leczeniu nabytego niedoboru białka C.

Co to jest lek Ceprotin?

Ceprotin to lek stosowany w leczeniu pacjentów z ciężkim wrodzonym (dziedzicznym) niedoborem białka C oraz w krótkoterminowym zapobieganiu krzepnięciu krwi u pacjentów z ciężkim wrodzonym niedoborem białka C. Szczegółowe informacje na temat zatwierdzonego stosowania produktu Ceprotin w Unii Europejskiej (UE) znajdują się [tutaj](#).

Produkt Ceprotin zawiera substancję czynną ludzkie białko C. Lek uzyskał pozwolenie na dopuszczenie do obrotu na terenie UE w lipcu 2001 r.

W jakim celu miał być stosowany lek Ceprotin?

Produkt Ceprotin miał być również stosowany u pacjentów z „nabytym” niedoborem białka C. Termin „nabyty” oznacza, że choroba nie jest dziedziczna, ale rozwija się za życia pacjenta i może wystąpić z różnych powodów, takich jak ciężkie zakażenie, choroba wątroby czy niedobór witaminy K.

Jakie jest oczekiwane działanie leku Ceprotin?

Produkt Ceprotin zawiera ludzkie białko C pozyskane i oczyszczone z ludzkiego osocza (płynnej frakcji krwi). W organizmie ludzkim białko C steruje wytwarzaniem trombiny, jednego z białek biorących udział w procesie krzepnięcia krwi. Białko C spowalnia produkcję trombiny, spowalniając w ten sposób



proces krzepnięcia. Wstrzyknięcie produktu Ceprotin powoduje natychmiastowe, ale krótkotrwałe zwiększenie stężenia białka C, co umożliwia kontrolowanie zaburzeń krzepliwości u pacjentów z niedoborem białka C.

Jaka dokumentacja została przedstawiona przez firmę na poparcie wniosku?

Wnioskodawca przedstawił dane z 2 badań głównych z łącznym udziałem 52 dzieci z niedoborem białka C wywołanym ciężkim zakażeniem, w których porównano produkt Ceprotin z placebo (leczeniem pozorowanym). Dostarczono również wyniki badania retrospektywnego w oparciu o dokumentację medyczną 94 dzieci z wrodzonym lub nabytym niedoborem białka C.

Na jakim etapie znajdowała się ocena w momencie wycofania wniosku?

Wniosek został wycofany w trakcie przeprowadzania przez CHMP oceny wstępnej dokumentacji przedstawionej przez firmę.

Jakie zalecenia wydał wówczas CHMP?

Z uwagi na to, że CHMP był w trakcie przeprowadzania oceny wstępnej dokumentacji przedstawionej przez firmę, nie zostały sformułowane wówczas żadne zalecenia.

Jakie przyczyny wycofania wniosku podała firma?

W swoim piśmie powiadamiającym Agencję o wycofaniu wniosku firma oświadczyła, że wycofała wniosek z uwagi na to, że CHMP w swojej wstępnej ocenie zażądał dodatkowych danych klinicznych w celu uzasadnienia twierdzenia, że produkt Ceprotin jest również skuteczny u pacjentów z nabytym niedoborem białka C.

Pismo powiadamiające o wycofaniu wniosku jest dostępne [tutaj](#).

Jakie są skutki wycofania dla pacjentów uczestniczących w badaniach klinicznych lub programach „leczenia ostatniej szansy”?

Firma poinformowała CHMP, że nie ma żadnych skutków dla pacjentów biorących udział w badaniach klinicznych lub programach leczenia ostatniej szansy.

W przypadku uczestnictwa w badaniach klinicznych lub programie leczenia ostatniej szansy i potrzeby dokładniejszych informacji o leczeniu należy skontaktować się z lekarzem prowadzącym.

Jakie działania podejmuje się w związku ze stosowaniem produktu Ceprotin w leczeniu pacjentów z ciężkim wrodzonym niedoborem białka C?

Nie ma żadnych skutków stosowania produktu Ceprotin w zatwierdzonym wskazaniu.

Pełna treść Europejskiego Publicznego Sprawozdania Oceniającego dotyczącego produktu Ceprotin znajduje się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/Find/medicine/Human/medicines/European_public_assessment_reports.