



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Otázky a odpovede

Stiahnutie žiadosti o zmenu v povolení na uvedenie na trh pre liek Ceprotin (ľudský proteín C)

Dňa 22. októbra 2014 spoločnosť Baxter AG oficiálne oznámila Výboru pre lieky na humánne použitie (CHMP) rozhodnutie stiahnuť svoju žiadosť o novú indikáciu pre liek Ceprotin, ktorý sa mal používať na liečbu získaného nedostatku proteínu C.

Čo je liek Ceprotin?

Ceprotin je liek, ktorý sa používa na liečbu pacientov so závažným vrodeným (dedičným) nedostatkom proteínu C a na krátkodobú prevenciu zrážania krvi u pacientov so závažným vrodeným nedostatkom proteínu C. Podrobné informácie o schválenom použití lieku Ceprotin v Európskej únii (EÚ) sa nachádzajú [tu](#).

Liek Ceprotin obsahuje účinnú látku ľudský proteín C. Liek bol v EÚ povolený v júli 2001.

Aké bolo predpokladané použitie lieku Ceprotin?

Liek Ceprotin sa mal používať aj u pacientov so získaným nedostatkom proteínu C. Získaný znamená, že ochorenie nie je zdedené, ale vyvíja sa počas života pacienta a príčiny výskytu ochorenia môžu byť rôzne, napríklad závažná infekcia, ochorenie pečene alebo nedostatok vitamínu K.

Akým spôsobom by mal liek Ceprotin účinkovať?

Ceprotin obsahuje ľudský proteín C, extrahovaný a purifikovaný z ľudskej plazmy (tekutej zložky krvi). Proteín C v tele riadi produkciu trombínu, jedného z proteínov, ktoré sa podieľajú na zrážaní krvi. Proteín C spomaľuje produkciu trombínu, a preto spomaľuje zrážanie krvi. Injekcia lieku Ceprotin vedie k okamžitému, ale dočasnému zvýšeniu hladiny proteínu C, čím sú kontrolované problémy zo zrážaním krvi u pacientov s nedostatkom proteínu C.



Akou dokumentáciou podložila spoločnosť svoju žiadosť?

Žiadateľ predložil údaje z dvoch hlavných štúdií zahŕňajúcich celkovo 52 detí s nedostatkom proteínu C zapríčineným závažnou infekciou, v ktorých sa liek Ceprotin porovnával s placebom (zdanlivým liekom). Boli tiež predložené výsledky z retrospektívnej štúdie na základe lekárskeho záznamov od 94 detí s vrodeným alebo získaným nedostatkom proteínu C.

V akej fáze hodnotenia bola žiadosť v čase stiahnutia?

Žiadosť bola stiahnutá, zatiaľ čo výbor CHMP stále hodnotil pôvodnú dokumentáciu, ktorú predložila spoločnosť.

Aké bolo v tom čase odporúčanie výboru CHMP?

Keďže výbor CHMP hodnotil pôvodnú dokumentáciu, ktorú predložila spoločnosť, neposkytol ešte nijaké odporúčania.

Aké dôvody na stiahnutie žiadosti uviedla spoločnosť?

V liste spoločnosti oznamujúcom agentúre stiahnutie žiadosti spoločnosť uviedla, že žiadosť stiahla preto, že výbor CHMP počas predbežného hodnotenia vyžadoval ďalšie klinické údaje na podporu tvrdenia, podľa ktorého je liek Ceprotin účinný aj u pacientov so získaným nedostatkom proteínu C.

List spoločnosti oznamujúci agentúre stiahnutie žiadosti sa nachádza [tu](#).

Aké sú dôsledky stiahnutia žiadosti pre pacientov, ktorí sa zúčastňujú na klinických skúškach alebo na programoch na použitie v naliehavých prípadoch?

Spoločnosť informovala výbor CHMP, že pre pacientov, ktorí sa v súčasnosti zúčastňujú na klinických skúškach alebo na programoch na použitie lieku v naliehavých prípadoch nevyplývajú žiadne dôsledky.

Ak ste však účastníkom klinického skúšania alebo programu na použitie lieku v naliehavých prípadoch a potrebujete viac informácií o svojej liečbe, obráťte sa na svojho ošetrojúceho lekára.

Čo sa stane s liekom Ceprotin, ktorý sa používa na liečbu pacientov so závažným vrodeným nedostatkom proteínu C?

Pre používanie lieku Ceprotin pri schválenej indikácii nevyplývajú žiadne dôsledky.

Úplné znenie európskej verejnej hodnotiacej správy o lieku Ceprotin sa nachádza na webovej stránke agentúry: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).