



TEAVE MÜÜGILOA MUUTMISTAOTLUSE TAGASIVÕTMISE KOHTA

NUTROPINAQ

Rahvusvaheline mittekaubanduslik nimetus (INN): *somatropiin*

24. jaanuaril 2008 teatas Ipsen Ltd ametlikult inimravimikomiteele oma soovist võtta tagasi uue näidustusena raske idiopaatilise kasvupeetuse pikaajaliseks raviks lastel kasutada kavatsetud ravimi NutropinAq müügiloa taotlus.

Mis on NutropinAq?

NutropinAq on kolbampullis turustatav süstelahus, mis sisaldab toimeainena somatropiini. Seda manustatakse süstina naha alla, kasutades spetsiaalselt kolbampullile ette nähtud pensüstalt.

NutropinAqi kasutatakse praegu laste ravimiseks järgmistel juhtudel:

- kui nad ei kasva kasvuhormooni puudulikkuse tõttu;
- kui nad on lühikest kasvu Turneri sündroomi tõttu (harva esinev tüdrukute geneetiline häire). See diagnoos peab olema kinnitatud kromosoomianalüüsiga (DNA-test);
- kui nad ei kasva enne puberteeti pikaajalise neeruhaiguse tõttu (krooniline neerupuudulikkus). NutropinAqi kasutatakse kuni lapsele neeru siirdamiseni.

NutropinAqi kasutatakse ka asendusravina kasvuhormooni puudulikkuse raviks täiskasvanutel. Puudulikkus võis tekkida täiskasvanu- või lapseas ja peab olema enne ravi alustamist analüüsidega kinnitatud.

Milleks kavatseti NutropinAqi kasutada?

Uue näidustuse kohaselt kavatseti kasutada NutropinAqi raske idiopaatilise (väljaselgitamata põhjusega) kasvupeetuse raviks lastel. Seda kavatseti kasutada pikaajaliseks raviks lastel, kellele prognoositi võrreldes oma vanemate pikkusega täiskasvanuna lühikest kasvu. Seda kavatseti kasutada sel juhul, kui on välistatud lapse kasvupeetuse muud võimalikud põhjused, näiteks kasvuhormooni puudulikkus.

Kuidas NutropinAq toimib?

Kasvuhormoon on ajuripatsi (aju allosas asuv nääre) poolt eritatav aine. See soodustab lapse- ja noorukieas kasvu ning mõjutab ka valkude, rasvade ja süsivesikute ainevahetust organismis. NutropinAqis toimeainena sisalduv somatropiin on inimese kasvuhormooniga identne. Seda valmistatakse rekombinant-DNA tehnika abil: hormooni toodab bakter, millele on lisatud inimese kasvuhormooni teket võimaldav geen (DNA).

Mis dokumendid esitas ettevõtte inimravimikomiteele oma taotluse toetuseks?

Ettevõtte esitas ühe põhiuuringu tulemused, milles vaadeldi NutropinAqi efektiivsust 118 kasvupeetusega lapspatsiendil, kellel ei olnud kasvuhormooni puudulikkust ega muud väljaselgitatud seisundit, mis võiks põhjustada nende kasvupeetust. Esimesel aastal võrreldi uuringus NutropinAqi manustamist kolm korda nädalas ravi puudumisega. Seejärel muudeti uuringu ülesehitust nii, et patsientidele manustati NutropinAqi kas kolm korda nädalas või üks kord päevas. Efektiivsust mõõdeti põhiliselt suurema kasvu saavutamise järgi täiskasvanuks saades. See põhines iga lapse prognoositud lõpliku pikkuse, lähtudes tema kasvust ja luude küpsusest enne NutropinAqi kasutamise

alustamist, ja täiskasvanuea tegeliku pikkuse vahel. Lapsed kasutasid ravimit kokku kuni kümne aasta jooksul.

Millises järgus oli müügiloo taotluse hindamine, kui see tagasi võeti?

Hindamine oli lõppenud ja inimravimikomitee oli andnud negatiivse arvamuse. Ettevõtte oli taotlenud negatiivse arvamuse taasläbivaatamist, mis ei olnud taotluse tagasivõtmise ajaks veel lõppenud.

Milline oli sel ajal inimravimikomitee soovitus?

Tuginedes esitatud andmete analüüsile ja ettevõtte vastustele inimravimikomitee esitatud küsimustele, oli komitee andnud taotluse tagasivõtmise ajal negatiivse arvamuse ega soovitanud anda NutropinAqile raske idiopaatilise kasvupeetuse pikaajalises ravis lastel kasutamiseks müügiluba.

Mis olid inimravimikomitee ettevaatlikkuse peamised põhjused?

Inimravimikomitee nägi põhjust ettevaatlikkuseks seepärast, et NutropinAqi kasulikkus raske idiopaatilise kasvupeetuse ravis oli tagasihoidlik, sest põhiuuringus oli lõplik täiskasvanuealine kasv suurem keskmiselt ligikaudu 6–7 cm võrra. Peale selle ei olnud tõestatud ravimi kasulikkust lapse psühholoogilise või sotsiaalse heaolu paranemisele. Komitee nägi põhjust ettevaatlikkuseks seepärast, et NutropinAqi pikaajaline kasutamine, mida on raske idiopaatilise kasvupeetuse korral vaja, võib suurendada elu jooksul hiljem kasvajate või diabeedi tekkimise ohtu.

Inimravimikomitee oli taotluse tagasivõtmise ajal seepärast arvamusel, et NutropinAqi kasulikkus ei ole küllaldaselt tõendatud ega ületa tuvastatud riske.

Mis põhjustel ettevõtte taotluse tagasi võttis?

Ettevõtte kiri, milles ta teatab Euroopa Raviametile oma taotluse tagasivõtmisest, on avaldatud [siin](#).

Kuidas mõjutab tagasivõtmine praegu NutropinAqi kliinilistes uuringutes või eriloaga kasutamise programmides osalevaid patsiente?

Ettevõtte teatas inimravimikomiteele, et NutropinAqiga praegu Euroopas selle näidustuse alusel kliinilisi uuringuid ega ravimi eriloaga kasutamise programme ei toimu.

Mis toimub NutropinAqi kasutamisel kasvuhormooni puudulikkusest, Turneri sündroomist või kroonilisest neerupuudulikkusest põhjustatud kasvupeetuse raviks?

Tagasivõtmine ei avalda mõju NutropinAqi kasutamisele nende näidustuste raviks, mille kohta on müügiluba juba antud ning mille korral jääb kasulikkuse ja riski suhe muutumatuks.