

London, 2008. február 21.
Dok. hiv. EMEA/166906/2008

KÉRDÉSEK ÉS VÁLASZOK A FORGALOMBA HOZATALI ENGEDÉLY MÓDOSÍTÁSA IRÁNTI KÉRELEM VISSZAVONÁSÁVAL KAPCSOLATBAN NUTROPINAQ

Nemzetközi szabadnév (INN): *szomatropin*

2008. január 24-én az Ipsen Ltd hivatalosan értesítette az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottságát (CHMP), hogy vissza kívánja vonni a NutropinAq új javallatára – gyermekek súlyos idiopátiás növekedési visszamaradásának hosszú távú kezelésére – vonatkozó kérelmét.

Milyen típusú gyógyszer a NutropinAq?

A NutropinAq patronban kiszerelt oldatos injekció, amely hatóanyagként szomatropint tartalmaz. Injekcióval adják be a bőr alá, a kifejezetten a patronhoz tervezett injekciós toll segítségével.

A NutropinAq-ot már alkalmazzák gyermekek kezelésére, az alábbi helyzetekben:

- amikor a növekedési hormon hiánya miatt nem nőnek megfelelően;
- amikor kis termetüket a Turner-szindróma okozza (kislányokat érintő ritka genetikai elváltozás). Ezt kromoszómavizsgálattal (DNS-vizsgálattal) kell megerősíteni;
- serdülőkor előtt, amikor hosszan tartó vesebetegség (krónikus veseelégtelenség) miatt nem nőnek megfelelően. A NutropinAq-ot addig alkalmazzák, amíg a gyermek veseátültetést nem végeznek.

A NutropinAq-ot növekedési hormon-hiányban szenvedő felnőttek kezelésére is alkalmazzák, pótló kezelésként. A hiány felnőttkorban vagy gyermekkorban is kialakulhat, a hiány tényét a kezelés megkezdése előtt vizsgálatokkal kell megerősíteni.

Milyen betegségek kezelésére szánták a NutropinAq-ot?

Az új javallatban a NutropinAq-ot gyermekek „súlyos idiopátiás növekedési visszamaradásának” kezelésére kívánták alkalmazni (azonosíthatatlan okú súlyos növekedési zavar). Olyan gyermekek hosszú távú kezelésére szánták, akik a szüleik magasságához képest felnőtt korukra várhatóan alacsonyak lesznek. Akkor kívánták alkalmazni, ha a gyermek kis testmagasságának összes lehetséges okát, például a növekedési hormon alacsony szintjét, már kizárták.

Hogyan fejt ki hatását a NutropinAq?

A növekedési hormon az agy alapjánál található mirigy, az agyalapi mirigy által kiválasztott anyag. Gyermekek- és serdülőkorban serkenti a növekedést, és hatással van a szervezet fehérje-, zsír- és szénhidrát-háztartására is. A NutropinAq hatóanyaga, a szomatropin megegyezik az emberi növekedési hormonnal. Az úgynevezett „rekombináns DNS technológia” segítségével állítják elő: a hormont egy baktérium termeli, amelybe egy gént (DNS-t) ültettek, ezáltal képes az emberi növekedési hormon előállítására.

Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a CHMP-nek a kérelem alátámasztására?

A vállalat egy fő vizsgálat eredményeit nyújtotta be, amely a NutropinAq hatásosságát 118 kis növésű gyermeknél tanulmányozta, akiknél nem állt fenn a növekedési hormon hiánya, sem pedig más olyan azonosítható állapot, amely a növekedési zavart okozhatta. A vizsgálat az első évben a hetente háromszor adott NutropinAq, illetve a kezelés mellőzésének hatásosságát hasonlította össze. A vizsgálat elrendezését ezt követően megváltoztatták, így a betegek a NutropinAq-ot vagy hetente háromszor, vagy naponta egyszer kapták. A hatékonyság fő mércéje a felnőttkori testmagasság

7 Westferry Circus, Canary Wharf, London E14 4HB, UK
Tel. (44-20) 74 18 84 00 Fax (44-20) 74 18 71 29
E-mail: mail@emea.europa.eu <http://www.emea.europa.eu>

növekedése volt. Ez a gyermekek által várhatóan elért magasságnak a NutropinAq-kezelés előtti magasságuk és csontjaik érettsége alapján becsült értéke, illetve a felnőtt korban elért tényleges magasságuk közötti különbségen alapult. A gyerekek összesen legfeljebb tíz évig kapták a gyógyszert.

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

Az értékelés befejeződött, és a CHMP negatív szakvéleményt adott. A vállalat kérte a negatív szakvélemény újraértékelését, ám ez még nem fejeződött be, amikor a vállalat visszavonta a kérelmet.

Mit tartalmazott a CHMP ajánlása az adott időpontban?

A visszavonás időpontjában, az adatok és a vállalat által a CHMP listáján szereplő kérdésekre adott válaszok áttekintése alapján, a CHMP negatív szakvéleményt adott, és nem javasolta a NutropinAq forgalomba hozatali engedélyének kiadását gyermekek súlyos idiopátiás növekedési visszamaradásának hosszú távú kezelésére.

Mik voltak a CHMP legfőbb aggályai?

A CHMP aggálya az volt, hogy a súlyos idiopátiás növekedési visszamaradás terén a NutropinAq előnyei nem igazolódtak kellő mértékben: a fő vizsgálatban a végleges felnőttkori magasság átlagosan körülbelül 6-7 cm-rel nőtt. Ezenfelül nem nyert igazolást, hogy a gyógyszer a gyermek pszichológiai és szociális jólétére jótékony hatást fejt ki. A bizottság aggodalmának adott hangot a tekintetben, hogy a NutropinAq hosszú időn keresztül végzett alkalmazása – amely a súlyos idiopátiás növekedési visszamaradás kezeléséhez szükséges – az élet későbbi szakaszaiban növelheti a daganatok vagy a cukorbetegség kialakulásának kockázatát.

Ezért a CHMP álláspontja a visszavonás időpontjában az volt, hogy a NutropinAq előnyei a gyermekek súlyos idiopátiás növekedési visszamaradásának hosszú távú kezelésében nem haladták meg a lehetséges kockázatokat.

Mivel indokolta a vállalat a kérelem visszavonását?

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

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

A vállalat tájékoztatta a CHMP-t, hogy ebben a javallatban Európában jelenleg nem folynak klinikai vizsgálatok vagy engedélyezés előtti kezelési programok a NutropinAq-ra vonatkozóan.

Mi fog történni a NutropinAq-val a növekedési hormon hiánya, a Turner-szindróma, illetve krónikus veseelégtelenség miatt kialakuló növekedési zavar kezelésében?

A visszavonás nem jár következményekkel a NutropinAq engedélyezett javallatokban történő alkalmazására nézve, mivel azokban az esetekben az előny-kockázat arány nem változik.