

Londonas, 2008 m. vasario 21 d.
Dok. Nr. EMEA/166887/2008

KLAUSIMAI IR ATSAKYMAI DĖL PARAIŠKOS KEISTI PREPARATO NUTROPINAQ RINKODAROS TEISĘ ATSIĖMIMO

Tarptautinis nepatentinis pavadinimas (INN): *somatropinas*

2008 m. sausio 24 d. bendrovė „Ipsen Ltd“ oficialiai pranešė Žmonėms skirtų vaistų komitetui (CHMP) apie savo pageidavimą atsiimti savo paraišką dėl naujos NutropinAq indikacijos – vaikų, turinčių sunkų idiopatinį žemaūgiškumą, ilgalaikiam gydymui.

Kas yra NutropinAq?

NutropinAq yra užtaise tiekiamas injekcinis tirpalas, kurio sudėtyje yra veikliosios medžiagos somatropino. Jis švirkščiamas po oda, naudojant švirkštimo priemonę, kuri specialiai pritaikyta užtaisui.

NutropinAq jau vartojamas vaikams gydyti žemiau išvardintais atvejais:

- esant sutrikusiam augimui dėl augimo hormono trūkumo;
- jei vaiko ūgis žemas dėl Turnerio sindromo (reto mergaičių genetinio sutrikimo), kurį patvirtina chromosomų analizė (DNR tyrimai);
- iki brendimo, jei vaiko augimas sutrikęs dėl įsisenėjusios inkstų ligos (lėtinio inkstų nepakankamumo). NutropinAq vartojamas tol, kol vaikui atliekamas inksto persodinimas.

NutropinAq taip pat vartojamas kaip pakaitinė terapija gydyti suaugusius pacientus, kuriems trūksta augimo hormono. Hormono trūkumas galėjo atsirasti paauglystėje ar vaikystėje, ir prieš pradėdant gydymą turi būti atlikti jį patvirtinantys tyrimai.

Kokiais atvejais buvo numatyta vartoti NutropinAq?

Pagal naują indikaciją NutropinAq numatyta vartoti vaikų su sunkiu idiopatinium žemaūgiškumu (sunki augimo sutrikimu, kurio priežastis nenustatyta) gydymui. Jis turėjo būti vartojamas ilgalaikiam gydymui vaikų, kurie, kaip prognozuojama, suaugę būtų žemo ūgio, lyginant su jų tėvų ūgiu. Jį buvo numatoma vartoti tais atvejais, kai atmetamos visos galimos vaiko žemaūgiškumo priežastys, pavyzdžiui, sumažėjęs augimo hormono kiekis.

Kokio tikimasi NutropinAq veikimo?

Augimo hormonas yra medžiaga, kurią išskiria liauka, esanti smegenų kamiene, vadinama hipofiziu. Ji skatina augimą vaikystės ir paauglystės laikotarpiu, taip pat turi įtakos organizmo baltymų, riebalų ir angliavandenių įsisavinimui. Veiklioji NutropinAq sudėtinė medžiaga, somatropinas, yra identiška žmogaus augimo hormonui. Jis gaunamas rekombinantinės DNR technologijos būdu: hormoną gamina bakterijos, gavusios geną (DNR), kuris leidžia joms gaminti žmogaus augimo hormoną.

Kokius dokumentus bendrovė pateikė CHMP kartu su paraiška?

Bendrovė pateikė rezultatus vieno pagrindinio tyrimo, kurio metu buvo tiriamas NutropinAq veiksmingumas 118 žemo ūgio vaikų, neturinčių augimo hormono trūkumo ar kitos nustatytos priežasties, galinčios sukelti augimo sutrikimus, grupei. Per pirmuosius tyrimų metus NutropinAq, vartojamo tris kartus per savaitę, veiksmingumas buvo lyginamas su būkle be jokio gydymo. Po to tyrimo planas buvo pakeistas, ir pacientams NutropinAq buvo skiriamas arba tris kartus per savaitę, arba kartą per dieną. Pagrindinis veiksmingumo rodiklis buvo suaugusio paciento ūgio padidėjimas. Jis nustatomas, remiantis skirtumu tarp kiekvieno vaiko ūgio, kurį jis pagal prognozes turėtų pasiekti,

atsižvelgiant į jo ūgį ir kaulų subrendimą prieš pradėdant vartoti NutropinAq, ir jo faktinio ūgio, vaikui suaugus. Iš viso vaikai vartojo vaistus iki dešimties metų.

Kuriuo paraiškos nagrinėjimo etapu paraiška atsiimta?

Įvertinimas buvo baigtas, ir CHMP pateikė neigiamą nuomonę. Bendrovė paprašė persvarstyti neigiamą nuomonę, tačiau pakartotinis svarstymas dar nebuvo pasibaigęs, bendrovei atsiimant paraišką.

Kokia tuo metu buvo CHMP rekomendacija?

Remdamasis duomenų apžvalga ir bendrovės atsakymais į CHMP klausimų sąrašą, paraiškos atsiėmimo metu CHMP buvo pateikęs neigiamą nuomonę ir nerekomendavo patvirtinti NutropinAq vaikų, turinčių sunkų idiopatinį žemaūgiškumą, ilgalaikiam gydymui.

Kas tuo metu CHMP kėlė didžiausią susirūpinimą?

CHMP kėlė susirūpinimą tas faktas, kad buvo įrodyta tik nedidelė NutropinAq nauda, gydant sunkų idiopatinį žemaūgiškumą, nes pagrindinio tyrimo metu buvo pasiektas vidutinis 6–7 cm galutinio suaugusio paciento ūgio padidėjimas. Be to, nebuvo parodyta vaisto nauda, gerinant vaiko psichologinę ar socialinę savijautą. Komitetas pareiškė susirūpinimą, kad ilgai vartojant NutropinAq, o tai būtina gydant sunkų idiopatinį žemaūgiškumą, gali padidėti navikų išsivystymo ar cukraligės pavojus vėlesniu gyvenimo laikotarpiu.

Taigi, paraiškos atsiėmimo metu CHMP laikėsi nuomonės, kad NutropinAq, vartojamo vaikų, turinčių sunkų idiopatinį žemaūgiškumą, ilgalaikiam gydymui, nauda nenusveria potencialios rizikos.

Kokias paraiškos atsiėmimo priežastis nurodė bendrovė?

Bendrovės laiška, informuojantį EMEA apie paraiškos atsiėmimą, galima rasti [čia](#).

Kokios pasekmės pacientams, dalyvaujantiems klinikiniuose tyrimuose (arba) NutropinAq naudojimo labdaros programose?

Bendrovė informavo CHMP, kad šiuo metu Europoje nevyksta jokie klinikiniai tyrimai arba nemokamo gydymo NutropinAq programos pagal šią indikaciją.

Kokia įtaka NutropinAq vartojimui, gydant augimo sutrikimus dėl hormonų trūkumo, Turnerio sindromo ar lėtinio inkstų nepakankamumo?

Šis atsiėmimas neturi įtakos NutropinAq vartojimui pagal patvirtintas indikacijas, kurio naudosis ir rizikos santykis išlieka nepakitęs.