



**MISTOQSIJA U TWEĠIBA DWAR L-IRTIRAR TA' L-APPLIKAZZJONI GHAL
MODIFIKA FL-AWTORIZZAZZJONI GHAT-TQEGHID FIS-SUQ
ghal
NUTROPINAQ**

Denominazzjoni Komuni Internazzjonali (DKI): *somatropin*

Fl-24 ta' Jannar 2008, Ipsen Ltd gharraf ufficialment lill-Kumitat għall-Prodotti Mediċinali għall-Użu mill-Bniedem (CHMP) bl-intenzjoni li jirtira l-applikazzjoni tiegħu għal indikazzjoni ġdida għal NutropinAq, għat-trattament ta' tfal bi statura żgħira idjopatika gravi.

X'inhu NutropinAq?

NutropinAq huwa soluzzjoni għal injezzjoni fi skartoċċ, li fih s-sustanza attiva somatropin. Huwa jinghata b'injezzjoni taht il-ġilda, bl-użu ta' pinna għall-injezzjoni maħsuba speċifikament għall-iskartoċċ.

NutropinAq diġà jintuża biex jiġu kkurati tfal fis-sitwazzjonijiet li ġejjin

- meta ma jikbrux minhabba nuqqas ta' l-ormon tat-tkabbir;
- jekk ikunu qosra minhabba s-sindromu ta' Turner (disturb ġenetiku rari li jolqot il-bniet). Dan irid jiġi kkonfermat b'analizi kromosomika (ittestjar tad-DNA);
- qabel il-pubertà, meta ma jikbrux minhabba mard tal-kliewi li jkun ilu preżenti (insuffiċjenza renali kronika). NutropinAq jintuża sakemm it-tifel/tifla jirċievu trapjant tal-kliewi.

NutropinAq jintuża wkoll għat-trattament ta' adulti b'defiċjenza ta' l-ormon tat-tkabbir, bhala terapija sostituttiva. Id-defiċjenza tista' tkun bdiet fit-tfulija jew f'età adulta, u trid tiġi kkonfermata b'testijiet qabel jinbeda t-trattament.

Għalxiex kien mistenni li jintuża NutropinAq?

Fl-indikazzjoni l-ġdida, NutropinAq kien mistenni li jintuża biex jiġu kkurati tfal bi 'statura żgħira idjopatika gravi' (indeboliment gravi tat-tkabbir minghajr ebda kawża identifikabbli). Kien jintuża bhala trattament għal żmien twil fi tfal li kienu previsti li se jibqgħu qosra, meta mqabbla mat-tul tal-ġenituri tagħhom, meta jilhq u l-età adulta. Huwa kellu jintuża jekk ikunu ġew eskluzi l-kawżi possibbli kollha tal-qosor tat-tifel/tifla, per eżempju livelli baxxi ta' l-ormon tat-tkabbir.

Kif huwa mistenni li jahdem NutropinAq?

L-ormon tat-tkabbir huwa sustanza li tohroġ minn glandola li tinsab fil-baži tal-moħħ imsejha l-glandola pitwitarja. Huwa jippromwovi t-tkabbir matul it-tfulija u l-adoloxxenza, u jaġixxi wkoll fuq il-mod kif il-ġisem jimmetabolizza l-proteini, ix-xaħam u l-karboidrati. Is-sustanza attiva f'NutropinAq, somatropin, hija identika għall-ormon tat-tkabbir uman. Hija prodotta b'metodu magħruf bhala 'teknoloġija rikombinanti tad-DNA': l-ormon isir b'batterju li jkun irċieva ġene (DNA) li jagħmilha possibbli li jipproduċi l-ormon tat-tkabbir uman.

X'dokumentazzjoni pprezentat il-kumpanija għas-sostenn ta' l-applikazzjoni tagħha lis-CHMP?

Il-kumpanija pprezentat ir-riżultati ta' studju wiehed prinċipali li haresh lejn l-effikaċja ta' NutropinAq f'118-il tifel u tifla bi statura qasira li ma kellhomx defiċjenza ta' l-ormon tat-tkabbir jew xi kundizzjoni ohra identifikabbli li setgħet tikkawża l-indeboliment tagħhom tat-tkabbir. Għall-ewwel sena, l-istudju qabbel l-effikaċja ta' NutropinAq mogħti tliet darbiet fil-ġimgha ma' dik ta' l-ebda

trattamento. Wara dan, id-disinn ta' l-istudju nbidel sabiex il-pazjenti nghataw NutropinAq jew tliet darbiet fil-gimgha jew darba kuljum. Il-kejl principali ta' l-effikaċja kien iż-żieda fit-tul ta' l-adulti. Din kienet ibbażata fuq id-differenza fit-tul li kull tifel jew tifla kien previst li jilhqu fuq il-baži tat-tul u l-maturità ta' l-għadam tagħhom qabel ma bdew jirċievu NutropinAq, u t-tul attwali tagħhom meta laħqu l-età adulta. B'kollox, it-tfal irċevew il-medicina għal perjodu totali sa għaxar snin.

Sa fejn kienet waslet l-evalwazzjoni ta' l-applikazzjoni qabel ma din giet irtirata?

L-evalwazzjoni waslet fi tmiemha u s-CHMP kien haġeg opinjoni negattiva. Il-kumpanija kienet talbet eżami mill-ġdid ta' l-opinjoni negattiva, iżda din kienet għadha ma ntemmitx meta l-kumpanija rtirat.

X'kien ir-rakkomandazzjoni tas-CHMP dak iż-żmien?

Abbaži ta' l-analiżi tad-dejta u t-tweġiba mogħtija mill-kumpanija għal-lista ta' mistoqsijiet tas-CHMP fi żmien l-irtirar, is-CHMP kien ta opinjoni negattiva u ma rakkomandax l-approvazzjoni ta' NutropinAq għat-trattament fuq perjodu fit-tul ta' tfal bi statura żgħira idjopatika gravi.

X'kien it-thassib ewlieni tal-CHMP?

Is-CHMP kien imħasseb li kien intwera biss benefiċċju modest ta' NutropinAq fi statura żgħira idjopatika gravi, b'żieda medja fit-tul adult finali ta' madwar 6 sa 7 ċentimetri fl-istudju principali. Barra minn hekk, ma kienx intwera benefiċċju tal-medicina fit-titjib tal-benesseri psikologiku jew soċjali tat-tifel jew tifla. Il-Kumitat qajjem thassib li l-użu ta' NutropinAq għall-perjodi twal neċessarji biex tiġi trattata statura żgħira idjopatika gravi jista' jżid ir-rikju ta' l-iżvilupp ta' tumuri jew dijabete aktar 'il quddiem fil-ħajja.

Għalhekk, fi żmien l-irtirar, l-opinjoni tas-CHMP kienet li l-benefiċċji ta' NutropinAq fit-trattament fuq perjodu fit-tul ta' tfal bi statura żgħira idjopatika gravi ma kinux jegħlbu r-riskji possibbli tiegħu.

X'kienu r-raġunijiet mogħtija mill-kumpanija għall-irtirar ta' l-applikazzjoni?

L-ittra mill-kumpanija li tgħarraf lill-EMEA dwar l-irtirar ta' l-applikazzjoni tinsab [hawn](#).

X'inhuma l-konsegwenzi ta' l-irtirar għal dawk il-pazjenti li jkunu involuti fi provi kliniċi jew programmi ta' użu b'kumpassjoni bl-użu ta' NutropinAq?

Il-kumpanija għarrafet lis-CHMP li ma kienu għaddejjin ebda provi kliniċi jew programmi ta' użu b'kumpassjoni fl-Ewropa b'NutropinAq f'din l-indikazzjoni.

X'jiġri b'NutropinAq għat-trattament tan-nuqqas ta' tkabbir minħabba defiċjenza ta' l-ormon tat-tkabbir, is-sindromu ta' Turner jew insuffiċjenza renali kronika?

Ma hemm l-ebda konsegwenza fuq l-użu ta' NutropinAq fl-indikazzjonijiet awtorizzati, fejn il-bilanċ bejn il-benefiċċju u r-riskju jibqa' kif kien.