

London, 21. februar 2008  
Sklic dok. EMEA/166894/2008

**VPRAŠANJA IN ODGOVORI V ZVEZI Z UMIKOM VLOGE ZA SPREMEMBO  
DOVOLJENJA ZA PROMET  
z zdravilom  
NUTROPINAQ**

Mednarodno nelastniško ime (INN): *somatropin*

Družba Ipsen Ltd je dne 24. januarja 2008 uradno obvestila Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP), da želi umakniti vlogo za novo indikacijo za zdravilo NutropinAq, in sicer za dolgotrajno zdravljenje otrok s hudo idiopatsko nizko telesno višino.

**Kaj je zdravilo NutropinAq?**

Zdravilo NutropinAq je raztopina za injiciranje v vložku, ki vsebuje zdravilno učinkovino somatropin. Daje se z injiciranjem pod kožo, in sicer z injekcijskim peresnikom, ki je posebej oblikovan za ta vložek.

Zdravilo NutropinAq se že uporablja za zdravljenje otrok v naslednjih primerih:

- pri motnjah v rasti zaradi pomanjkanja ravnega hormona;
- če so premajhne rasti zaradi Turnerjevega sindroma (redka prirojena bolezen, ki prizadene dekleta). To mora biti potrjeno s kromosomsko analizo (analizo DNA);
- pred puberteto v primeru zastoja rasti zaradi dolgotrajne bolezni ledvic (kroničnega ledvičnega popuščanja). Zdravilo NutropinAq se uporablja do presaditve ledvice.

Zdravilo NutropinAq se uporablja tudi za zdravljenje odraslih s pomanjkanjem ravnega hormona, in sicer kot nadomestna terapija. Do pomanjkanja ravnega hormona lahko pride v odrasli dobi ali otroštvu, pred začetkom zdravljenja pa mora biti potrjeno s testi.

**Za kaj naj bi se zdravilo NutropinAq uporabljalo?**

Nova indikacija je predvidevala uporabo zdravila NutropinAq pri zdravljenju otrok s „hudo idiopatsko nizko telesno višino“ (hudo motnjo v rasti z nepojasnenim razlogom). Uporabljalo naj bi se za dolgotrajno zdravljenje pri otrocih, za katere se predvideva, da bodo v odrasli dobi, v primerjavi s svojimi starši, nizke rasti. Zdravilo naj bi se uporabljalo le v primeru izključitve vseh možnih razlogov za otrokovo nizko telesno višino, npr. nizke ravni ravnega hormona.

**Kako zdravilo NutropinAq deluje?**

Rastni hormon je snov, ki jo izloča žleza, ki se nahaja na možganskem dnu, imenovana hipofiza. Ta hormon spodbuja rast v otroštvu in obdobju pubertete ter tudi vpliva na presnovo beljakovin, maščob in ogljikovih hidratov v telesu. Zdravilna učinkovina zdravila NutropinAq, somatropin, je identična humanemu ravnemu hormonu. Proizvaja se z metodo, imenovano „tehnologija rekombinantne DNA“, pri kateri hormon izdelava bakterija, ki je prejela gen (DNA), s katerim lahko tvori humani rastni hormon.

**Katero dokumentacijo je družba predložila CHMP v podporo svoji vlogi ?**

Družba je predložila rezultate glavne študije, v kateri so preučevali učinkovitost zdravila NutropinAq pri 118 otrocih z nizko telesno višino, ki niso izkazovali niti pomanjkanja ravnega hormona niti katerega koli drugega določljivega razloga, ki bi lahko povzročil motnjo v rasti. Prvo leto so v okviru študije primerjali učinkovitost zdravila NutropinAq, dajanega trikrat tedensko, s stanjem brez zdravljenja. Nato je bila zasnova študije spremenjena tako, da so bolniki prejeli zdravilo

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>

NutropinAq bodisi trikrat tedensko bodisi enkrat dnevno. Glavno merilo učinkovitosti je bilo povečanje višine pri odraslih. To je temeljilo na razliki med višino, ki naj bi jo posamezen otrok dosegel po napovedi na podlagi svoje višine in zrelosti kosti pred pričetkom prejemanja zdravila NutropinAq, ter njegovo dejansko višino, ko je dosegel odraslo dobo. Otroci so skupaj prejeli zdravilo do deset let.

#### **Kako daleč je bil postopek ocenjevanja vloge ob njenem umiku?**

Postopek ocenjevanja je bil zaključen in CHMP je izrazil negativno mnenje. Družba je zahtevala ponovno presojo negativnega mnenja, ki pa še ni bila zaključena, ko je družba podala zahtevek za umik.

#### **Kakšno je bilo takrat priporočilo CHMP?**

Na podlagi pregleda podatkov in odgovorov družbe na seznam vprašanj, ki jih je do umika vloge zastavil CHMP, je Odbor izrazil negativno mnenje in ni priporočil odobritve zdravila NutropinAq za dolgotrajno zdravljenje otrok s hudo idiopatsko nizko telesno višino.

#### **Kateri so bili glavni zadržki CHMP?**

CHMP je izrazil zadržek, da je bila v glavni študiji izkazana le zmerna korist zdravila NutropinAq pri hudi idiopatski nizki telesni višini, s povprečno 6- do 7-centimetrskim povečanjem končne odrasle višine. Poleg tega ni bila dokazana korist zdravila z vidika izboljšanja otrokovega psihološkega ali socialnega počutja. Odbor je izrazil pomislek, da bi dolgotrajna uporaba zdravila NutropinAq za zdravljenje hude idiopatske nizke telesne višine utegnila povečati tveganje za razvoj tumorjev ali sladkorne bolezni kasneje v življenju.

Posledično je CHMP v času umika menil, da koristi zdravila NutropinAq pri dolgotrajnem zdravljenju otrok s hudo idiopatsko nizko telesno težo ne odtehtajo z njim povezanih tveganj.

#### **Kakšni so bili razlogi družbe za umik vloge?**

Dopis, s katerim družba agencijo EMEA obvešča o umiku vloge, je na voljo [tukaj](#).

#### **Kakšne so posledice umika za bolnike, ki sodelujejo v kliničnih preskušanjih ali programih sočutne uporabe zdravila NutropinAq?**

Družba je obvestila CHMP, da trenutno v Evropi klinična preskušanja ali programi sočutne uporabe zdravila NutropinAq za to indikacijo ne potekajo.

#### **Kakšne so posledice za zdravilo NutropinAq, indicirano za zdravljenje zaustavitve rasti kot posledice pomanjkanja ravnega hormona, Turnerjevega sindroma ali kroničnega ledvičnega popuščanja?**

Umik nima nobenih posledic za uporabo zdravila NutropinAq za odobrene indikacije, pri katerih ostaja razmerje med koristmi in tveganji nespremenjeno.