



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2019. november 15.  
EMA/613378/2019  
EMA/H/C/002697/II/0029

## Az Opsumit-ra (macitentan) vonatkozó forgalombahozatali engedély módosítása iránti kérelem visszavonása

A Janssen-Cilag International NV visszavonta az Opsumit krónikus tromboembóliás pulmonális hipertónia (CTEPH) kezelésére való alkalmazására vonatkozó kérelmét. Ez a betegség magas vérnyomást okoz a tüdőben.

A vállalat 2019. november 8-án vonta vissza a kérelmet.

### **Milyen típusú gyógyszer az Opsumit és milyen betegségek esetén alkalmazható?**

Az Opsumit-ot a pulmonális artériás hipertónia (PAH) hosszú távú kezelésére alkalmazzák. Ebben a betegségben a tüdőben kialakuló kórosan magas vérnyomás olyan tüneteket okoz, mint a légszomj és a fáradtság. A kezeletlen PAH a szívizomzat elgyengülését vagy szívelégtelenséget eredményezhet.

Az Opsumit 2013 decembere óta engedélyezett az EU-ban. A tableta formájában kapható gyógyszer hatóanyaga a macitentan.

Az Opsumit jelenlegi alkalmazására vonatkozó további információk az Ügynökség weboldalán található: [ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/opsumit](http://ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/opsumit)

### **Milyen módosítás iránti kérelmet nyújtott be a vállalat?**

A vállalat az Opsumit alkalmazásának kiterjesztését kérte a CTEPH kezelésére, amely hasonló a PAH-hoz, de más a kiváltó oka (főként vérrögök).

Az Opsumit-ot olyan CTEPH esetén tervezték alkalmazni, amely nem korrigálható műtéttel és túlzott mértékű tüneteket, például légszomjat vagy mellkasi fájdalmat okoz, amikor a beteg normális fizikai tevékenységet végez (WHO funkcionális osztály II. és III.).

### **Hogyan fejt ki hatását az Opsumit?**

Az Opsumit hatóanyaga, a macitentan azáltal fejt ki hatását, hogy gátolja a vérerekben azokat a receptorokat, amelyek a szervezet által természetes módon termelt endotelin célpontjai. Amikor az

**Official address** Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

**Address for visits and deliveries** Refer to [www.ema.europa.eu/how-to-find-us](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



endotelin ezekhez a receptorokhoz kapcsolódik, a vérerek falának összehúzódását váltja ki és növeli a vérnyomást. A tüdőben ezen receptorok blokkolása révén a macitentan segít meggátolni ezt a hatást, tágítja a vérereket a tüdőben, ezáltal pedig csökkenti a vérnyomást.

Az Opsumit-tól azt várták, hogy ugyanúgy fejti ki hatását CTEPH esetén, mint a PAH-ban szenvedő betegeknél.

## **Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a kérelem alátámasztására?**

A vállalat egy fő vizsgálat adatait nyújtotta be, amelyben 80 olyan, CTEPH-ban szenvedő beteg vett részt, akiknek a betegségét nem lehetett műtéttel korrigálni, és a betegeket Opsumit-tal vagy placebóval (hatóanyag nélküli kezelés) kezelték. A vizsgálatban a pulmonális vaszkuláris rezisztencia (PVR) értékének javulását értékelték négy hónap elteltével. A PVR azt jelzi, hogy a szívnek milyen intenzíven kell működnie, hogy átpumpálja a vért a tüdő vérerein keresztül.

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

A kérelmet azt követően vonták vissza, hogy az Európai Gyógyszerügynökség már értékelte a vállalat által eredetileg benyújtott információt, és kidolgozott egy kérdéssort. Miután az Ügynökség értékelte a vállalatnak a kérdéssorra adott válaszait, még mindig maradt néhány megoldatlan probléma.

## **Mit tartalmazott az Ügynökség ajánlása az adott időpontban?**

A visszavonás időpontjában az adatok és a vállalat által az Ügynökség kérdéseire adott válaszok áttekintése alapján az Ügynökség részéről néhány aggály merült fel, és az volt az ideiglenes véleménye, hogy az Opsumit alkalmazása nem engedélyezhető a CTEPH kezelésére.

A fő vizsgálat eredményeit nehezen lehetett értelmezni, és számos esetben eltértek a vizsgálati tervtől, ami miatt az eredmények kevésbé megbízhatóak lehetnek. Ezért a visszavonás időpontjában az Ügynökség véleménye az volt, hogy a vállalat nem nyújtott be elegendő adatot az Opsumit forgalombahozatali engedélyének módosítására vonatkozó kérelem alátámasztásához.

## **Mivel indokolta a vállalat a kérelem visszavonását?**

Az Ügynökséget a kérelem visszavonásáról értesítő [levelében](#) a vállalat úgy nyilatkozott, hogy azt követően vonta vissza a kérelmét, hogy visszajelzést kapott az EMA emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottságától (CHMP) a vizsgálattal és annak elvégzési módjával kapcsolatban.

## **Milyen következményekkel jár a visszavonás azokra a betegekre nézve, akik részt vesznek klinikai vizsgálatokban?**

A vállalat tájékoztatta az Ügynökséget, hogy meglátása szerint a visszavonásnak az Opsumit-tal végzett, folyamatban lévő klinikai vizsgálatokra nézve nem lesznek következményei. Ha Ön ilyen klinikai vizsgálatban vesz részt és kezelését illetően további információra van szüksége, vegye fel a kapcsolatot kezelőorvosával.

## **Mi történik az Opsumit-tal az egyéb betegségek kezelése vonatkozásában?**

Az Opsumit jelenleg engedélyezett javallatokban való alkalmazására nézve nincsenek következmények.