



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Stiahnutie žiadosti o zmenu povolenia na uvedenie na trh pre liek Opsumit (macitentan)

Spoločnosť Janssen-Cilag International NV stiahla svoju žiadosť o použitie lieku Opsumit na liečbu chronickej tromboembolickej pľúcnej hypertenzie (CTEPH), ochorenia, ktoré spôsobuje vysoký krvný tlak v pľúcach.

Spoločnosť stiahla žiadosť 8. novembra 2019.

Čo je liek Opsumit a na čo sa používa?

Liek Opsumit sa používa na dlhodobú liečbu pľúcnej arteriálnej hypertenzie (PAH), pri ktorej abnormálne vysoký krvný tlak v pľúcach vedie k takým príznakom ako je dýchavičnosť a únava. Ak sa ochorenie PAH nelieči, môže viesť k oslabeniu srdcového svalu alebo k zlyhaniu srdca.

Liek Opsumit je v EÚ povolený od decembra 2013. Liek obsahuje liečivo macitentan a je k dispozícii vo forme tabliet.

Viac informácií o súčasných použitíach lieku Opsumit sa nachádza na webovej stránke agentúry: ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/opsumit

O akú zmenu spoločnosť požiadala?

Spoločnosť požiadala o rozšírenie použitia lieku Opsumit na liečbu chronickej tromboembolickej pľúcnej hypertenzie (CTEPH), ktorá je podobná ako ochorenie PAH, ale má inú príčinu (najmä krvné zrazeniny).

Predpokladalo sa, že liek Opsumit sa bude používať u pacientov s ochorením CTEPH, ktoré nemožno korigovať operáciou a ktoré spôsobuje neprimerané príznaky, ako je dýchavičnosť alebo bolesť v hrudníku, keď pacient vykonáva normálne fyzické činnosti (funkčné triedy II a III podľa Svetovej zdravotníckej organizácie).

Akým spôsobom liek Opsumit účinkuje?

Liečivo lieku Opsumit, macitentan, pôsobí tak, že blokuje receptory v krvných cievach, ktoré sú cieľmi endotelínu, čo je látka, ktorá sa prirodzene vytvára v tele. Keď sa endotelín naviaže na tieto receptory,

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

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

An agency of the European Union



vyvolá to zúženie stien v krvných cievach a zvýši sa krvný tlak. Blokovaným týchto receptorov v pľúcach macitentan pomáha zastaviť tento účinok, rozšíriť krvné cievy v pľúcach, a tak znížiť krvný tlak.

Predpokladalo sa, že liek Opsumit bude účinkovať u pacientov s ochorením CTEPH rovnakým spôsobom ako účinkuje u pacientov s ochorením PAH.

Akou dokumentáciou podložila spoločnosť svoju žiadosť?

Spoločnosť predložila údaje z hlavnej štúdie zahŕňajúcej 80 pacientov s ochorením CTEPH, ktoré nebolo možné korigovať operáciou. Pacientom sa podával buď liek Opsumit alebo placebo (zdanlivý liek). V štúdiu sa skúmali zlepšenia pľúcnej vaskulárnej rezistencie (PVR) po štyroch mesiacoch. PVR je meradlom toho, ako namáhavo musí srdce pracovať, aby vytlačilo krv cez krvné cievy v pľúcach.

V akej fáze hodnotenia bola žiadosť v čase stiahnutia?

Žiadosť bola stiahnutá potom, ako Európska agentúra pre lieky vyhodnotila pôvodné informácie, ktoré spoločnosť predložila, a sformulovala otázky pre spoločnosť. Potom ako agentúra posúdila odpovede spoločnosti na otázky, ešte stále zostali niektoré otázky nevyriešené.

Aké bolo v tom čase odporúčanie agentúry?

Na základe preskúmania údajov a odpovedí spoločnosti na zoznam otázok agentúry mala agentúra v čase stiahnutia žiadosti určité výhrady a dospela k predbežnému stanovisku, že liek Opsumit nemôže byť povolený na liečbu ochorenia CTEPH.

Výsledky hlavnej štúdie bolo ťažké interpretovať a zistilo sa niekoľko odchýlok od protokolu štúdie, a čo mohlo viesť k zníženiu spoľahlivosti výsledkov. Agentúra preto v čase stiahnutia žiadosti zastávala názor, že spoločnosť nepredložila dostatok informácií na podporu žiadosti o zmenu povolenia na uvedenie na trh pre liek Opsumit.

Aké dôvody na stiahnutie žiadosti uviedla spoločnosť?

Vo svojom [liste](#) oznamujúcom agentúre stiahnutie žiadosti spoločnosť uviedla, že žiadosť stiahla na základe spätnej väzby od Výboru agentúry EMA pre humánne lieky (CHMP) týkajúcej sa štúdie a spôsobu, akým bola vykonaná.

Má stiahnutie žiadosti vplyv na pacientov, ktorí sa zúčastňujú na klinických skúškaniach?

Spoločnosť informovala agentúru, že nepredpokladá žiadne dôsledky na prebiehajúce klinické skúšania s liekom Opsumit. Ak sa zúčastňujete na klinickom skúšaní a potrebujete viac informácií o svojej liečbe, obráťte sa na svojho ošetrojúceho lekára.

Čo sa stane s liekom Opsumit, ktorý sa používa na liečbu ochorenia PAH?

Pre používanie lieku Opsumit v jeho schválenej indikácii nevyplývajú žiadne dôsledky.