



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

17 września 2021 r.
EMA/508191/2021
EMA/H/C/005730

Wycofanie wniosku o dopuszczenie do obrotu dotyczącego produktu Oportuzumab monatox DLRC Pharma Services (oportuzumab monatoks)

Firma DLRC Pharma Services wycofała wniosek o dopuszczenie do obrotu produktu Oportuzumab monatox DLRC Pharma Services przeznaczonego do leczenia i zapobiegania nawrotowi raka pęcherza oraz do zapobiegania nawrotowi nowotworów brodawkowych.

Firma wycofała wniosek w dniu 20 sierpnia 2021 r.

Co to jest Oportuzumab monatox DLRC Pharma Services i w jakim celu miał być stosowany?

Produkt Oportuzumab monatox DLRC Pharma Services opracowano jako lek przeznaczony do leczenia dwóch rodzajów raka pęcherza. Lek miał być stosowany w leczeniu i zapobieganiu nawrotowi raka rozwijającego się w miejscu (CIS, carcinoma-in-situ) pęcherza moczowego oraz w zapobieganiu nawrotowi guzów brodawkowych wysokiego stopnia Ta lub T1. Lek miał być stosowany u pacjentów, którzy przeszli operację usunięcia nowotworu (resekcja transuretralna) i u których nie wystąpiła odpowiedź na immunoterapię BCG (rodzaj leczenia przeciwnowotworowego).

Lek Oportuzumab monatox DLRC Pharma Services zawiera substancję czynną oportuzumab monatoksi i miał być wstrzykiwany bezpośrednio do pęcherza moczowego.

Jak działa produkt Oportuzumab monatox DLRC Pharma Services?

Oportuzumab monatox DLRC Pharma Services składa się z fragmentu przeciwciała (rodzaju białka) dołączonego do substancji cytotoksycznej (zabijającej komórki). Przeciwciało zostało zaprojektowane w taki sposób, aby wiązało się z celem występującym na powierzchni komórek nowotworowych (EpCAM), umożliwiając przedostanie się leku do komórek nowotworowych. Po dostaniu się leku do wnętrza komórki oczekuje się, że substancja cytotoksyczna zabije komórkę. Oczekiwano również, że lek wywoła odpowiedź immunologiczną na komórki nowotworowe.

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



Jaką dokumentację przedstawiła firma na poparcie wniosku?

Firma przedstawiła wyniki badania z udziałem 133 pacjentów z CIS pęcherza moczowego lub guzami brodawkowatymi (wysokiego stopnia Ta lub dowolnego stopnia T1), u których nowotwór nie reagował na immunoterapię BCG. Głównym kryterium oceny skuteczności był brak objawów ze strony komórek nowotworowych (pełna odpowiedź) po 3 miesiącach i czas trwania tej odpowiedzi. Produktu Oportuzumab monatox DLRC Pharma Services nie porównywano z innymi lekami ani placebo (leczenie pozorowane).

Na jakim etapie znajdowała się ocena w momencie wycofania wniosku?

Wniosek wycofano po przeprowadzeniu przez Europejską Agencję Leków oceny wstępnych informacji przedłożonych przez firmę i przygotowaniu pytań do firmy. Firma wycofała wniosek jeszcze przed udzieleniem odpowiedzi na pytania.

Jakie zalecenia wydała wówczas Agencja?

W momencie wycofania wniosku Agencja zgłosiła poważne zastrzeżenia na podstawie przeglądu danych i wstępna opinia wskazywała, że produkt Oportuzumab monatox DLRC Pharma Services nie może być zatwierdzony w leczeniu i zapobieganiu nawrotowi raka rozwijającego się w miejscu pęcherza moczowego ani w zapobieganiu nawrotom nowotworów brodawkowych.

Agencja miała wątpliwości dotyczące jakości, bezpieczeństwa stosowania i skuteczności leku. Jeżeli chodzi o jakość, do wytwarzania leku zastosowano kilka procesów, w związku z czym pojawiły się wątpliwości co do pomiaru aktywności leku w różnych stosowanych procesach. Potrzebne były także dodatkowe informacje na temat zgodności z dobrą praktyką wytwarzania oraz obecności potencjalnych zanieczyszczeń. W odniesieniu do skuteczności Agencja uznała, że populacja pacjentów uczestniczących w badaniu głównym nie jest zgodna z docelowym wskazaniem. Ponadto w trakcie trwania badania wprowadzono istotne zmiany w projekcie badania, co wiązało się z problemami z interpretacją wyników, a wybór głównego kryterium oceny skuteczności nie został uznany za właściwy. Co więcej, istniały wątpliwości co do znaczenia klinicznego zgłoszonych wyników dotyczących skuteczności. Wreszcie, jeśli chodzi o bezpieczeństwo, niektóre dane wydawały się sprzeczne i wymagały dalszego wyjaśnienia.

Dlatego też w momencie wycofania wniosku Agencja zgłosiła poważne zastrzeżenia co do wiarygodności danych i stwierdziła, że na podstawie danych przedstawionych przez firmę nie można zatwierdzić leku.

Jakie przyczyny wycofania wniosku podała firma?

W swoim [piśmie](#) powiadamiającym Agencję o wycofaniu wniosku firma oświadczyła, że wycofała wniosek w następstwie informacji zwrotnych otrzymanych od Amerykańskiej Agencji ds. Żywności i Leków (FDA) na temat wniosku dotyczącego oportuzumabu monatox złożonego w Stanach Zjednoczonych.

Jakie są skutki wycofania dla pacjentów uczestniczących w badaniach klinicznych?

Firma powiadomiła Agencję, że wycofanie wniosku nie będzie miało wpływu na pacjentów biorących udział w badaniach klinicznych z użyciem produktu Oportuzumab monatox DLRC Pharma Services.

W przypadku uczestnictwa w badaniach klinicznych i potrzeby uzyskania dokładniejszych informacji o leczeniu należy skontaktować się z lekarzem prowadzącym badanie.