



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

13 Ноември 2020 г.
EMA/594092/2020
EMA/H/C/005123

Оттегляне на заявлението за разрешаване за употреба на Puldysa (idebenone)

Santhera Pharmaceuticals (Deutschland) GmbH оттегля своето заявление за разрешаване за употреба за Puldysa за лечение на мускулна дистрофия на Duchenne.

Фирмата оттегля заявлението си на 28 октомври 2020 г.

Какво представлява Puldysa и за какво е предназначен да се използва?

Puldysa е разработен като лекарство за лечение на влошаване на дишането при пациенти с мускулна дистрофия на Duchenne, които не приемат кортикостероиди.

Лекарството съдържа активното вещество идебенон (idebenone) и е предназначено да се предлага като филмирани таблетки, които да се приемат през устата.

Разработено е като „хибридно лекарство“. Това означава, че е предназначено да бъде подобно на „референтно лекарство“, което съдържа същото активно вещество и вече е разрешено в Европейския съюз. Референтното лекарство е Mnesis — лекарство, разрешено в Италия за лечение на глаукома.

Puldysa е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, което се използва при редки болести) на 20 март 2007 г. за мускулна дистрофия на Duchenne. Допълнителна информация за определянето на лекарството сирак можете да намерите [тук](#).

Как действа Puldysa?

Активното вещество в Puldysa, идебенон, представлява антиоксидантно средство, което действа върху митохондриите (структури във вътрешността на клетките, които произвеждат енергията, необходима за функциониране на клетките). При пациенти с мускулна дистрофия на Duchenne митохондриите не функционират правилно и произвеждат токсични форми на кислород, които увреждат мускулните клетки. Счита се, че идебенон помага за подобряване на производството на енергия чрез възстановяване на функцията на митохондриите, като по този начин предотвратява клетъчното увреждане и загубата на мускулна функция, включително и на участващите в дишането мускули.

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



Идебенон е разрешен за употреба в ЕС и за лечение на когнитивни и поведенчески дефицити, атаксия на Friedreich и наследствена оптична невропатия на Leber.

Какво е представила фирмата в подкрепа на своето заявление?

Фирмата предоставя резултати от три основни проучвания, обхващащи пациенти с мускулна дистрофия на Duchenne, които не са лекувани с кортикостероиди. В две проучвания Puldysa е сравнен с плацебо (сляпо лечение) и ефективността е измерена чрез подобрене на белодробната функция или промяна на ПЕП (пиков експираторен поток, показател за дихателната функция) след една година лечение. В третото проучване пациентите, лекувани с Puldysa, са проследявани по-дълго, за да се провери дали ефектите върху дишането се запазват.

На какъв етап от оценката е заявлението към момента на оттеглянето?

Заявлението е оттеглено, след като Европейската агенция по лекарствата е оценила информацията, представена от фирмата, и е изготвила въпроси към фирмата. След като Агенцията е оценила отговорите на фирмата на последната група въпроси, все още остават някои неразрешени проблеми.

Какви са препоръките на Агенцията към момента на оттеглянето?

Въз основа на прегледа на данните и отговорите на фирмата по въпросите на Агенцията, към момента на оттеглянето Агенцията има известни забележки и изразява предварителното становище, че Puldysa не може да бъде одобрен за лечение на влошаване на дихателната функция при пациенти с мускулна дистрофия на Duchenne, които не използват кортикостероиди.

Агенцията счита, че полезните ефекти върху белодробната функция не са последователни в различните проучвания и не е ясно дали те могат да се запазят дългосрочно.

Поради това към момента на оттеглянето становището на Агенцията е, че ползите от Puldysa не превишават рисковете.

Какви причини посочва фирмата за оттегляне на заявлението?

В [писмото](#), с което фирмата уведомява Агенцията за оттеглянето на заявлението, се посочва, че заявлението се оттегля след протичащо основно проучване, което се е очаквало да предостави допълнителни доказателства за Puldysa при мускулна дистрофия на Duchenne, тъй като не са постигнати набелязаните цели.

Какви са последствията от оттеглянето за пациентите, участващи в клинични изпитвания или програми с милосърдна цел?

Фирмата уведомява Агенцията, че всички клинични изпитвания и програми с милосърдна цел за Puldysa при мускулна дистрофия на Duchenne са в процес на спиране. Лекарите, участващи в клиничните изпитвания, ще се свържат с пациентите, за да организират посещения за окончателно проследяване.

Ако участвате в клинично изпитване или в програма с милосърдна цел и се нуждаете от повече информация, говорете с вашия лекар, провеждащ клиничното изпитване.