



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

13. November 2020
EMA/594092/2020
EMA/H/C/005123

Rücknahme des Antrags auf Genehmigung für das Inverkehrbringen für Puldysa (Idebenon)

Die Santhera Pharmaceuticals (Deutschland) GmbH hat ihren Antrag auf Genehmigung für das Inverkehrbringen von Puldysa für die Behandlung der Duchenne-Muskeldystrophie zurückgenommen.

Das Unternehmen nahm den Antrag am 28. Oktober 2020 zurück.

Was ist Puldysa und wofür sollte es angewendet werden?

Puldysa wurde als Arzneimittel zur Behandlung fortschreitender Atembeschwerden bei Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie, die keine Kortikosteroide erhalten, entwickelt.

Das Arzneimittel enthält den Wirkstoff Idebenon und sollte als Filmtabletten zum Einnehmen erhältlich sein.

Es wurde als „Hybridarzneimittel“ entwickelt. Dies bedeutet, dass es einem in der Europäischen Union bereits zugelassenen „Referenzarzneimittel“ ähnlich sein sollte, das denselben Wirkstoff enthält. Das Referenzarzneimittel ist Mnesis, ein in Italien zur Behandlung von Glaukomen zugelassenes Arzneimittel.

Puldysa wurde am 20. März 2007 als „Orphan-Arzneimittel“ (Arzneimittel für seltene Leiden) gegen die Duchenne-Muskeldystrophie ausgewiesen. Weitere Informationen zu der Ausweisung als Arzneimittel für seltene Leiden finden Sie [hier](#).

Wie wirkt Puldysa?

Der Wirkstoff in Puldysa, Idebenon, ist ein Antioxidans, das auf die Mitochondrien (die Strukturen in Zellen, die die für das Funktionieren der Zellen notwendige Energie produzieren) wirkt. Bei Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie funktionieren die Mitochondrien nicht korrekt und bilden toxische Formen von Sauerstoff, die die Muskelzellen schädigen. Es wird davon ausgegangen, dass Idebenon hilft, die Energieproduktion durch die Wiederherstellung der Funktion der Mitochondrien zu verbessern, und dadurch der Schädigung der Zellen und dem Verlust der Muskelfunktion, einschließlich der Atemmuskulatur, vorbeugt.

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



Idebenon ist in der EU ferner zur Behandlung von kognitiven und Verhaltensstörungen, Friedreich-Ataxie und Leberscher hereditärer Optikusneuropathie zugelassen.

Welche Unterlagen hat das Unternehmen zur Stützung seines Antrags vorgelegt?

Das Unternehmen legte die Ergebnisse aus drei Hauptstudien unter Beteiligung von Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie, die nicht mit Kortikosteroiden behandelt wurden, vor. Puldysa wurde in zwei Studien mit Placebo (einer Scheinbehandlung) verglichen. Die Wirksamkeit wurde anhand der Verbesserung der Lungenfunktion oder der Veränderung des PEF (Peak Expiratory Flow; maximale Atemstromstärke – ein Indikator für die Atemfunktion) nach einem Behandlungsjahr gemessen. In der dritten Studie wurden mit Puldysa behandelte Patienten länger nachbeobachtet, um festzustellen, ob die Wirkungen auf die Atmung anhielten.

In welchem Stadium der Beurteilung befand sich der Antrag zum Zeitpunkt der Rücknahme?

Der Antrag wurde zurückgenommen, nachdem die Europäische Arzneimittel-Agentur die von dem Unternehmen eingereichten Unterlagen ausgewertet und eine Liste von Fragen an das Unternehmen formuliert hatte. Nachdem die Agentur die Antworten des Unternehmens auf die letzte Runde der ihm gestellten Fragen geprüft hatte, waren immer noch einige Fragen ungeklärt.

Wie lautete die Empfehlung der Agentur zu diesem Zeitpunkt?

Aufgrund der geprüften Daten und der Antworten des Unternehmens auf die Fragen der Agentur bestanden seitens der Agentur zum Zeitpunkt der Rücknahme gewisse Bedenken. Die Agentur war der vorläufigen Ansicht, dass Puldysa für die Behandlung fortschreitender Atembeschwerden bei Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie, die keine Kortikosteroide erhalten, nicht hätte zugelassen werden können.

Nach Ansicht der Agentur waren die positiven Wirkungen auf die Lungenfunktion in den Studien nicht einheitlich. Zudem war unklar, ob sie langfristig aufrechterhalten werden können.

Zum Zeitpunkt der Rücknahme war die Agentur daher der Ansicht, dass der Nutzen von Puldysa gegenüber den Risiken nicht überwiegt.

Aus welchen Gründen hat das Unternehmen den Antrag zurückgenommen?

In dem [Schreiben](#), mit dem das Unternehmen die Agentur über die Rücknahme des Antrags informiert, gab es an, dass es seinen Antrag zurücknimmt, nachdem eine laufende Hauptstudie, die weitere Nachweise für Puldysa bei Duchenne-Muskeldystrophie liefern sollte, eingestellt worden war, da sie ihre Ziele nicht erreichte.

Hat die Rücknahme Konsequenzen für Patienten, die derzeit an klinischen Studien bzw. „Compassionate-Use“-Programmen teilnehmen?

Das Unternehmen hat die Agentur informiert, dass alle klinischen Studien und „Compassionate-Use“-Programme zu Puldysa bei Duchenne-Muskeldystrophie eingestellt werden. Die Studienärzte werden sich mit den Patienten in Verbindung setzen, um letzte Nachbeobachtungstermine zu organisieren.

Sollten Sie an einer klinischen Studie oder einem „Compassionate-Use“-Programm teilnehmen und weitere Informationen benötigen, wenden Sie sich bitte an Ihren Studienarzt.