



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

13 Νοεμβρίου 2020  
EMA/594092/2020  
EMA/H/C/005123

## Απόσυρση της αίτησης για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας στο Puldysa (ιδεβενόνη)

Η Santhera Pharmaceuticals (Γερμανία) GmbH απέσυρε την αίτησή της για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας στο Puldysa για τη θεραπεία της μυϊκής δυστροφίας τύπου Duchenne.

Η εταιρεία απέσυρε την αίτηση στις 28 Οκτωβρίου 2020.

### **Τι είναι το Puldysa και σε ποιες περιπτώσεις επρόκειτο να χρησιμοποιηθεί;**

Το Puldysa αναπτύχθηκε ως φάρμακο για τη θεραπεία της επιδείνωσης της αναπνοής σε ασθενείς με μυϊκή δυστροφία τύπου Duchenne οι οποίοι δεν λαμβάνουν κορτικοστεροειδή.

Το φάρμακο περιέχει τη δραστική ουσία ιδεβενόνη και επρόκειτο να διατεθεί σε μορφή επικαλυμμένων με λεπτό υμένιο δισκίων για λήψη από του στόματος.

Το Puldysa αναπτύχθηκε ως «υβριδικό φάρμακο». Αυτό σημαίνει ότι το Puldysa σχεδιάστηκε έτσι ώστε να είναι παρεμφερές με ένα «φάρμακο αναφοράς» το οποίο περιέχει την ίδια δραστική ουσία και είναι ήδη εγκεκριμένο στην Ευρωπαϊκή Ένωση. Το φάρμακο αναφοράς είναι το Mnesis, το οποίο έχει λάβει άδεια κυκλοφορίας στην Ιταλία για τη θεραπεία του γλαυκώματος.

Το Puldysa χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χορηγείται σε σπάνιες ασθένειες) στις 20 Μαρτίου 2007, για τη θεραπεία της μυϊκής δυστροφίας τύπου Duchenne. Περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τον χαρακτηρισμό των ορφανών φαρμάκων διατίθενται [εδώ](#).

### **Πώς δρα το Puldysa;**

Η δραστική ουσία του Puldysa, η ιδεβενόνη, είναι αντιοξειδωτικό το οποίο επενεργεί στα μιτοχόνδρια (δομές στο εσωτερικό των κυττάρων οι οποίες παράγουν την απαιτούμενη ενέργεια για τη λειτουργία των κυττάρων). Σε ασθενείς με μυϊκή δυστροφία τύπου Duchenne, τα μιτοχόνδρια δεν λειτουργούν κανονικά και παράγουν τοξικές μορφές οξυγόνου που καταστρέφουν τα μυϊκά κύτταρα. Η ιδεβενόνη θεωρείται ότι βελτιώνει την παραγωγή ενέργειας, αποκαθιστώντας τη λειτουργία των μιτοχονδρίων. Ως εκ τούτου, αποτρέπεται η καταστροφή των κυττάρων και η απώλεια μυϊκής λειτουργίας, μεταξύ άλλων, η απώλεια της λειτουργίας των αναπνευστικών μυών.

**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



Η ιδεβενόνη έχει λάβει επίσης άδεια κυκλοφορίας στην ΕΕ για τη θεραπεία γνωσιακών και συμπεριφοριστικών ελλειμμάτων, της αταξίας του Friedreich και της κληρονομικής οπτικής νευροπάθειας Leber.

## **Τι είδους τεκμηρίωση υπέβαλε η παρασκευάστρια εταιρεία προς στήριξη της αίτησής της;**

Η εταιρεία παρουσίασε τα αποτελέσματα από τρεις κύριες μελέτες στις οποίες συμμετείχαν ασθενείς με μυϊκή δυστροφία τύπου Duchenne που δεν λάμβαναν θεραπεία με κορτικοστεροειδή. Σε δύο μελέτες το Puldysa συγκρίθηκε με εικονικό φάρμακο (εικονική θεραπεία) και η αποτελεσματικότητα μετρήθηκε με βάση τη βελτίωση της λειτουργίας των πνευμόνων ή την αλλαγή στην PEF (μέγιστη ροή εκπνοής, δείκτης αναπνευστικής λειτουργίας) μετά από ένα έτος θεραπείας. Στην τρίτη μελέτη οι ασθενείς που έλαβαν Puldysa τελούσαν υπό παρακολούθηση για μεγαλύτερο χρονικό διάστημα προκειμένου να διαπιστωθεί εάν οι επιδράσεις στην αναπνοή διατηρήθηκαν.

## **Σε ποιο στάδιο της αξιολόγησης βρισκόταν η αίτηση τη στιγμή της απόσυρσης;**

Η αίτηση αποσύρθηκε αφού ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων είχε ήδη αξιολογήσει τις πληροφορίες που υπέβαλε η εταιρεία και είχε καταρτίσει κατάλογο ερωτήσεων για αυτήν. Από του Οργανισμός ολοκλήρωσε την αξιολόγηση των απαντήσεων της εταιρείας στον τελευταίο γύρο ερωτήσεων, εκκρεμούσαν ακόμη ορισμένα ζητήματα.

## **Ποια ήταν η σύσταση του Οργανισμού τη στιγμή της απόσυρσης;**

Βάσει της επανεξέτασης των υποβληθέντων στοιχείων και της απάντησης της εταιρείας στις ερωτήσεις του Οργανισμού τη στιγμή της απόσυρσης, ο Οργανισμός εξέφρασε ορισμένες ανησυχίες και διατύπωσε την προσωρινή γνώμη ότι το Puldysa δεν θα μπορούσε να έχει εγκριθεί για τη θεραπεία της επιδείνωσης της αναπνευστικής λειτουργίας σε ασθενείς με μυϊκή δυστροφία τύπου Duchenne οι οποίοι δεν λαμβάνουν κορτικοστεροειδή.

Ο Οργανισμός έκρινε ότι οι ευεργετικές επιδράσεις στη λειτουργία των πνευμόνων παρουσίαζαν ανακολουθίες σε όλες τις μελέτες και δεν ήταν σαφές εάν μπορούσαν να διατηρηθούν για μεγάλο χρονικό διάστημα.

Ως εκ τούτου, τη στιγμή της απόσυρσης, ο Οργανισμός διατύπωσε τη γνώμη ότι τα οφέλη του Puldysa δεν υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό.

## **Ποιοι ήταν οι λόγοι απόσυρσης της αίτησης που παρέθεσε η εταιρεία;**

Στην [επιστολή](#) με την οποία κοινοποιεί στον Οργανισμό την απόσυρση της αίτησης, η εταιρεία δήλωσε ότι αποσύρει την αίτηση διότι μια εν εξελίξει κύρια μελέτη, η οποία αναμενόταν να παράσχει περισσότερα δεδομένα για τη χρήση του Puldysa στη μυϊκή δυστροφία τύπου Duchenne, τερματίστηκε λόγω αδυναμίας επίτευξης των στόχων της.

## **Επηρεάζει η απόσυρση της αίτησης τους ασθενείς που συμμετέχουν σε κλινικές δοκιμές ή προγράμματα παρηγορητικής χρήσης;**

Η εταιρεία ενημέρωσε τον Οργανισμό ότι διακόπτονται όλες οι κλινικές δοκιμές και τα προγράμματα παρηγορητικής χρήσης για τη χρήση του Puldysa στη μυϊκή δυστροφία τύπου Duchenne. Οι γιατροί που διενεργούν τις κλινικές δοκιμές θα επικοινωνήσουν με τους ασθενείς προκειμένου να οργανώσουν τελικές επισκέψεις παρακολούθησης.

Εάν συμμετέχετε σε κλινική δοκιμή ή πρόγραμμα παρηγορητικής χρήσης και χρειάζεστε περισσότερες πληροφορίες, συμβουλευθείτε τον γιατρό που σας παρακολουθεί στο πλαίσιο της δοκιμής.