



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

13 de noviembre de 2020  
EMA/594092/2020  
EMA/H/C/005123

## Retirada de la solicitud de autorización de comercialización de Puldysa (idebenone)

Santhera Pharmaceuticals (Alemania) GmbH retiró la solicitud de autorización de comercialización de Puldysa para el tratamiento de la distrofia muscular de Duchenne.

La empresa retiró la solicitud el 28 de octubre de 2020.

### ¿Qué es Puldysa y a qué uso estaba destinado?

Puldysa se desarrolló como medicamento para tratar el empeoramiento de la función respiratoria en pacientes con distrofia muscular de Duchenne a los que no se les están administrando corticosteroides.

El medicamento contiene el principio activo idebenona e iba a presentarse en comprimidos recubiertos para tomar por vía oral.

Se desarrolló como «medicamento híbrido», Esto significa que iba a ser similar a un «medicamento de referencia» que contiene el mismo principio activo y que ya está autorizado en la Unión Europea. El medicamento de referencia es Mnesis, un medicamento autorizado en Italia para el tratamiento del glaucoma.

Puldysa fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 20 de marzo de 2007 para la distrofia muscular de Duchenne. Puede encontrarse más información sobre la designación de medicamento huérfano [aquí](#).

### ¿Cómo actúa Puldysa?

El principio activo de Puldysa, la idebenona, es un antioxidante que actúa en las mitocondrias (las estructuras intracelulares que producen la energía necesaria para que las células funcionen). En los pacientes con distrofia muscular de Duchenne, las mitocondrias no funcionan correctamente y producen formas tóxicas de oxígeno que dañan las células musculares. Se considera que la idebenona ayuda a mejorar la producción de energía al restaurar la función mitocondrial, lo que evita el daño celular y la pérdida de función muscular, incluida la de los músculos respiratorios.

---

**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



La idebenona también está autorizada en la UE para el tratamiento de los déficits cognitivos y de comportamiento, la ataxia de Friedreich y la neuropatía hereditaria óptica de Leber.

### **¿Qué documentación presentó la empresa en apoyo de su solicitud?**

La compañía presentó los resultados de tres estudios principales realizados en pacientes con distrofia muscular de Duchenne que no habían sido tratados con corticosteroides. En dos estudios se comparó Puldysa con un placebo (un tratamiento ficticio) y la eficacia se midió mediante una mejora de la función pulmonar o un cambio en el FEM (flujo expiratorio máximo, un indicador de la función respiratoria) al cabo de un año de tratamiento. En el tercer estudio se efectuó un seguimiento más prolongado de los pacientes tratados con Puldysa para comprobar si se mantenían los efectos respiratorios.

### **¿En qué fase se encontraba la evaluación de la solicitud cuando fue retirada?**

La solicitud fue retirada después de que la Agencia Europea de Medicamentos hubiera evaluado la documentación presentada por la compañía y formulado listas de preguntas para la compañía. Una vez que la Agencia hubo evaluado las respuestas de la empresa a la última serie de preguntas, aún quedaban algunas cuestiones sin resolver.

### **¿Qué recomendaba la Agencia en ese momento?**

Estudiada la documentación y las respuestas de la compañía a la(s) lista(s) de preguntas de la Agencia, en el momento de la retirada la Agencia seguía teniendo reservas y, provisionalmente, consideraba que Puldysa no hubiera podido autorizarse para tratar el empeoramiento de la función respiratoria en pacientes con la distrofia muscular de Duchenne que no están utilizando corticosteroides.

La Agencia consideró que los efectos beneficiosos sobre la función pulmonar no eran uniformes en los distintos estudios y que no estaba claro que pudieran mantenerse a largo plazo.

Por consiguiente, en el momento de la retirada, la Agencia estimaba que los beneficios de Puldysa no superaban a los riesgos.

### **¿Cuáles fueron las razones aducidas por la empresa para retirar su solicitud?**

En la [carta](#) en la que notificaba a la Agencia la retirada de la solicitud, la compañía manifestaba que retiraba su solicitud después de suspender un estudio principal en curso que se esperaba proporcionase ulteriores pruebas sobre la eficacia de Puldysa en la distrofia muscular de Duchenne dado que no había conseguido alcanzar sus objetivos.

### **¿Qué consecuencias tiene esta retirada para los pacientes que participan en los ensayos clínicos o programas de uso compasivo?**

La compañía informó a la Agencia de que todos los ensayos clínicos y los programas de uso compasivo para Puldysa en la distrofia muscular de Duchenne quedarán suspendidos. Los médicos de ensayos clínicos se pondrán en contacto con los pacientes para organizar las visitas de seguimiento definitivas.

Si participa usted en un ensayo clínico o programa de uso compasivo y precisa más información acerca de su tratamiento, consulte a su médico en el ensayo clínico.