



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2020. gada 13. novembris
EMA/594092/2020
EMA/H/C/005123

***Puldysa* (idebenons) reģistrācijas apliecības pieteikuma atsaukšana**

Santhera Pharmaceuticals (Deutschland) GmbH atsauc *Puldysa* reģistrācijas apliecības pieteikumu. Šīs zāles tiek lietotas Dišēna muskuļu distrofijas ārstēšanai.

Uzņēmums atsauc pieteikumu 2020. gada 28. oktobrī.

Kas ir *Puldysa* un kādam nolūkam bija paredzēts tās lietot?

Puldysa tika izstrādāta kā zāles elpošanas pasliktināšanās ārstēšanai pacientiem ar Dišēna muskuļu distrofiju, kuri nelieto kortikosteroīdus.

Zāles satur aktīvo vielu idebenonu, un bija paredzēts, ka šīs zāles būs pieejamas kā apvalkotas tabletes iekšķīgai lietošanai.

Tās tika izstrādāta kā "hibrīdzāle". Tas nozīmē, ka tās bija iecerētas kā līdzīgas "atsauces zālēm", kas satur to pašu aktīvo vielu un jau ir reģistrētas Eiropas Savienībā. Atsauces zāles ir *Mnesis*, un tās ir reģistrētas Itālijā glaukomas ārstēšanai.

Puldysa 2007. gada 20. martā piešķīra reti sastopamu slimību ārstēšanai paredzētu zāļu statusu Dišēna muskuļu distrofijas ārstēšanai. Plašāka informācija par zāļu apzīmējumu reti sastopamu slimību ārstēšanai ir pieejama [šeit](#).

Kā *Puldysa* darbojas?

Puldysa aktīvā viela idebenons ir antioksidants, kas iedarbojas uz mitohondrijiem (šūnās esošām struktūrām, kas ražo šūnu funkcionēšanai nepieciešamo enerģiju). Pacientiem ar Dišēna muskuļu distrofiju mitohondriji nedarbojas pareizi un ražo toksiskas skābekļa formas, kas bojā muskuļu šūnas. Tiek uzskatīts, ka idebenons palīdz uzlabot enerģijas ražošanu, atjaunojot mitohondriju funkcionalitāti, tādējādi novēršot šūnu bojājumus un muskuļu funkciju zudumu, tai skaitā plaušu muskuļiem.

Idebenons Eiropas Savienībā ir reģistrēts arī kognitīvās un uzvedības deficīta, Frīdreiha ataksijas un Lēbera pārmantotās optiskās neiropātijas ārstēšanai.

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



Kādus dokumentus uzņēmums iesniedza pieteikuma pamatošanai?

Uzņēmums iesniedza rezultātus no pamatpētījuma, iesaistot pacientus ar Dišēna muskuļu distrofiju, kurus neārstēja ar kortikosteroīdiem. Divos pētījumos salīdzināja *Puldysa* ar placebo (neīstu ārstēšanas līdzekli), un efektivitāti vērtēja pēc plaušu darbības uzlabošanās vai *PEF* (izelpas maksimālās plūsmas jeb elpošanas funkcijas rādītāja) izmaiņām pēc viena gada ārstēšanas. Trešajā pētījumā ar *Puldysa* ārstētos pacientus novēroja ilgāku laiku, lai noskaidrotu, vai iedarbība uz elpošanu tiek saglabāta.

Kurā pieteikuma vērtēšanas posmā pieteikumu atsauca?

Pieteikumu atsauca, kad Eiropas Zāļu aģentūra bija izvērtējusi uzņēmuma iesniegto informāciju un sagatavojusi jautājumu sarakstu uzņēmumam. Novērtējusi uzņēmuma sniegtās atbildes uz pēdējā posma jautājumiem, aģentūra konstatēja, ka dažas problēmas joprojām nav atrisinātas.

Kāds bija aģentūras ieteikums tajā laikā?

Pamatojoties uz izskatītajiem datiem un uzņēmuma atbildēm uz aģentūras jautājumiem, atsaukšanas brīdī aģentūrai bija daži iebildumi, un aģentūra tobrīd provizoriski atzina, ka *Puldysa* nevarēja apstiprināt elpošanas darbības pasliktināšanās ārstēšanai pacientiem ar Dišēna muskuļu distrofiju, kuri nelieto kortikosteroīdus.

Aģentūra uzskatīja, ka labvēlīga ietekme uz plaušu darbību dažādos pētījumos nav konsekventa un nav skaidrs, vai to varētu saglabāt ilgtermiņā.

Tāpēc atsaukšanas brīdī aģentūra uzskatīja, ka *Puldysa* sniegtie ieguvumi neatsver to radīto risku.

Kā uzņēmums pamatoja pieteikuma atsaukšanu?

[Vēstulē](#), kurā uzņēmums informē aģentūru par pieteikuma atsaukšanu, tas norādīja, ka pieteikumu atsauc pēc notiekoša pamatpētījuma, kura ietvaros bija sagaidāms nodrošināt papildu pierādījumus par *Puldysa* lietošanu Dišēna muskuļu distrofijas ārstēšanai, pārtraukšanas, jo tas nespēja panākt izvirzītos mērķus.

Vai šis atsaukums ietekmēs pacientus, kuri piedalās klīniskajos pētījumos vai līdzcietīgas zāļu lietošanas programmās?

Uzņēmums informēja aģentūru, ka tiek pārtraukti visi klīniskie pētījumi un līdzcietīgas zāļu lietošanas programmas, kurās piedalās pacienti ar Dišēna muskuļu distrofiju. Klīnisko pētījumu ārsti sazināsies ar pacientiem, lai sarunātu pēdējās apsekošanas vizītes.

Ja jūs pašlaik piedalāties klīniskā pētījumā vai līdzcietīgas zāļu lietošanas programmā un vēlaties saņemt plašāku informāciju par savu terapiju, jautājiet savam klīniskā pētījuma ārstam.