



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Retirada do pedido de Autorização de Introdução no Mercado para Puldysa (idebenona)

A Santhera Pharmaceuticals (Deutschland) GmbH retirou o pedido de autorização de introdução no mercado para o Puldysa para o tratamento da distrofia muscular de Duchenne.

A empresa retirou o pedido em 28 de outubro de 2020.

O que é o Puldysa e qual a utilização prevista?

O Puldysa foi desenvolvido como medicamento para tratar o agravamento da função respiratória em doentes com distrofia muscular de Duchenne que não estão a receber corticosteroides.

O medicamento contém a substância ativa ibedenona e iria ser disponibilizado na forma de comprimido revestido por película para tomar por via oral.

O Puldysa foi desenvolvido como medicamento híbrido, o que significa que seria similar a um medicamento de referência que contém a mesma substância ativa já autorizado na União Europeia. O medicamento de referência é o Mnesis, autorizado na Itália para o tratamento do glaucoma.

O Puldysa foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) em 20 de março de 2007 para o tratamento da distrofia muscular de Duchenne. Pode obter informações adicionais sobre a designação de medicamento órfão [aqui](#).

Como funciona o Puldysa?

A substância ativa do Puldysa, a idebenona, é um agente antioxidante que atua nas mitocôndrias (estruturas no interior das células que produzem a energia necessária para assegurar o funcionamento das células). Nos doentes com distrofia muscular de Duchenne, as mitocôndrias não funcionam corretamente, produzindo formas tóxicas de oxigénio que danificam as células musculares. Pensa-se que a idebenona ajuda a melhorar a produção de energia ao restaurar a função das mitocôndrias, prevenindo, desta forma, os danos celulares e a perda da função muscular, incluindo a dos músculos respiratórios.

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



A idebenona também está autorizada na UE para o tratamento de défices cognitivos e comportamentais, da ataxia de Friedreich e da neuropatia ótica hereditária de Leber.

Que documentação foi apresentada pela empresa a acompanhar o pedido?

A empresa apresentou resultados de três estudos principais que incluíram doentes com distrofia muscular de Duchenne que não estavam a ser tratados com corticosteroides. Em dois estudos, o Puldysa foi comparado com um placebo (tratamento simulado) e a eficácia foi medida através da melhoria da função pulmonar ou da alteração do PFE (pico de fluxo expiratório, um indicador da função respiratória) após um ano de tratamento. No terceiro estudo, os doentes tratados com o Puldysa foram acompanhados mais tempo para verificar se os efeitos na respiração se mantinham.

Qual o estado de adiantamento do processo de avaliação do pedido quando este foi retirado?

O pedido foi retirado depois de a Agência Europeia de Medicamentos ter avaliado as informações fornecidas pela empresa e formulado perguntas para a empresa. Após a avaliação, pela Agência, das respostas apresentadas pela empresa à última ronda de perguntas, subsistiam algumas questões.

Qual era a recomendação da Agência no momento da retirada?

Com base na análise dos dados e da resposta da empresa às perguntas da Agência, no momento da retirada, a Agência tinha algumas questões, sendo que o seu parecer provisório era de que o Puldysa não podia ser autorizado para o tratamento do agravamento da função respiratória em doentes com distrofia muscular de Duchenne que não utilizam corticosteroides.

A Agência considerou que os efeitos benéficos sobre a função pulmonar não eram consistentes em todos os estudos e não era claro se poderiam ser mantidos a longo prazo.

Por conseguinte, no momento da retirada, a Agência considerava que os benefícios do Puldysa não eram superiores aos seus riscos.

Quais as razões invocadas pela empresa para retirar o pedido?

Na [carta](#) a notificar a Agência da retirada do pedido, a empresa declarou que retirava o pedido depois de um estudo principal em curso, que se esperava que fornecesse evidências adicionais relativas ao Puldysa na distrofia muscular de Duchenne, ser interrompido por não ter conseguido atingir os seus objetivos.

Quais as consequências da retirada do pedido para os doentes incluídos em ensaios clínicos ou programas de uso compassivo em curso?

A empresa informou a Agência de que todos os ensaios clínicos e programas de uso compassivo para o Puldysa na distrofia muscular de Duchenne estão a ser interrompidos. Os médicos dos ensaios clínicos contactarão os doentes para organizar consultas finais de acompanhamento.

Se estiver incluído num ensaio clínico ou num programa de uso compassivo e necessitar de informação adicional, fale com o médico do ensaio clínico.