

Londýn 24. apríla 2008  
Dok. č.: EMEA/138069/2008

**OTÁZKY A ODPOVEDE TÝKAJÚCE SA STIAHNUTIA ŽIADOSTI O ZMENU  
POVOLENIA NA UVEDENIE NA TRH  
pre  
EVOLTRA**

Medzinárodný nechránený názov (INN): *klofarabín*

Dňa 18. marca 2008 spoločnosť Bioenvision Ltd, ktorá je v úplnom vlastníctve ako dcérsky podnik spoločnosti Genzyme Corporation, oficiálne oznámila Výboru pre lieky na humánne použitie (CHMP) rozhodnutie stiahnuť svoju žiadosť o zmenu povolenia na uvedenie lieku Evoltra na trh. Zmena sa týkala rozšírenia indikácie na pridanie liečby akútnej myeloidnej leukémie u starších pacientov. Liek Evoltra bol označený za liek na ojedinelé ochorenia pre tento stav 8. mája 2003.

**Čo je liek Evoltra?**

Liek Evoltra je koncentrát, z ktorého sa pripravuje infúzny roztok (na kvapkanie do žily). Obsahuje účinnú látku klofarabín.

Liek Evoltra už bol použitý na liečbu detí s akútnou lymfoblastickou leukémiou (ALL, rakovina lymfocytov, čo je druh bielych krviniek). Tento liek sa používa vtedy, ak pacienti nereagovali na liečbu aspoň dvoma inými liekmi, alebo ak sa im choroba vrátila (relaps) a ak neexistuje žiadna iná možnosť liečby, od ktorej by bolo možné očakávať odpoveď.

**Aké bolo predpokladané použitie lieku Evoltra?**

V novej indikácii sa liek Evoltra mal použiť na liečbu pacientov starších ako 65 rokov s akútnou myeloidnou leukémiou (ALL, rakovina myeloidných buniek, čo je typ nezrelých bielych krviniek). Mal sa používať u pacientov, pre ktorých nie je vhodná intenzívna chemoterapia, pretože v ich myeloidných bunkách sa vyskytujú určité genetické abnormality, „sekundárna“ akútna myeloidná leukémia (AML nasledujúca po poruche krvi) alebo trpia ďalšou chorobou sprevádzajúcou AML, alebo je z dôvodu ich veku nad 70 rokov.

**Akým spôsobom by mal liek Evoltra účinkovať?**

Účinná látka lieku Evoltra, klofarabín, je cytotoxická látka (zabíja deliace sa bunky, ako sú napríklad rakovinové bunky). Patrí do skupiny protirakovinových liekov, ktoré sa nazývajú antimetabolity. Klofarabín je analóg adenínu, ktorý je súčasťou základného genetického materiálu buniek. V tele klofarabín nahrádza adenín a interferuje s enzýmami, ktoré sa podieľajú na výrobe genetického materiálu. To zabraňuje bunkám vo vytváraní novej DNA a spomaľuje rast nádorových buniek.

**Akou dokumentáciou podložila spoločnosť svoju žiadosť pred výborom CHMP?**

Spoločnosť predložila výsledky z jednej hlavnej štúdie zahŕňajúcej 66 pacientov vo veku 65 rokov alebo starších s ochorením AML, ktorí predtým neboli liečení a nebola pre nich vhodná intenzívna chemoterapia. V štúdiu sa liek Evoltra neporovnával so žiadnym iným liekom. Hlavnou mierou účinnosti bol počet pacientov s remisiou (odstránenie leukémie z kostnej drene a kompletným alebo čiastočným návratom počtu krviniek na normálnu hladinu).

### **V akej fáze hodnotenia bola žiadosť v čase stiahnutia?**

Spoločnosť stiahla svoju žiadosť na 90. deň od jej podania. Potom ako výbor CHMP vyhodnotil odpovede spoločnosti na zoznam otázok, niektoré otázky ostali nevyriešené.

### **Aké bolo v tom čase odporúčanie výboru CHMP?**

Na základe preskúmania údajov a odpovedí spoločnosti na zoznam otázok mal výbor CHMP v čase stiahnutia žiadosti určité výhrady a jeho predbežné stanovisko bolo, že liek Evoltra nemôže byť schválený na liečbu AML u starších pacientov.

### **Aké boli hlavné výhrady výboru CHMP?**

Výbor CHMP mal výhrady voči tomu, že hlavná štúdia nebola dostatočná na preukázanie účinnosti lieku Evoltra liečbe AML u starších pacientov, pre ktorých nebola vhodná intenzívna chemoterapia, a že na stanovenie účinnosti lieku boli potrebné výsledky zo štúdie porovnávajúcej liečbu liekom Evoltra s bežnou liečbou. Výbor mal výhrady voči tomu, že na štúdiu sa zúčastnili pacienti, pre ktorých bola vhodná intenzívna chemoterapia a táto skutočnosť mohla vyvolať zdanie vyššej účinnosti lieku Evoltra. Ďalšie výhrady sa týkali vedľajších účinkov lieku ovplyvňujúcich obličky. Z tohto dôvodu zastával výbor CHMP v čase stiahnutia žiadosti názor, že prínos lieku Evoltra nebol dostatočne preukázaný a nebol väčší ako jeho zistené riziká.

### **Aké dôvody na stiahnutie žiadosti uviedla spoločnosť?**

List spoločnosti oznamujúci agentúre EMEA stiahnutie žiadosti sa nachádza [tu](#).

### **Aké sú dôsledky stiahnutia žiadosti pre pacientov, ktorí sa zúčastňujú na klinických skúškach lieku Evoltra alebo na programoch na použitie lieku v nevyhnutných prípadoch?**

Spoločnosť informovala výbor CHMP, že pre pacientov, ktorí sa zúčastňujú na klinických skúškach alebo programoch na použitie lieku v naliehavých prípadoch nevyplývajú zo stiahnutia žiadne dôsledky. Ak ste účastníkom klinickej skúšky alebo programu na použitie lieku v naliehavých prípadoch a potrebujete viac informácií o svojej liečbe, obráťte sa na svojho ošetrojúceho lekára.

### **Čo platí pre liek Evoltra, ak sa používa na liečbu ALL u detí?**

Na používanie lieku Evoltra pri schválenej indikácii, pre ktorú sa pomer prínosu a rizika nezmenil, nevyplývajú žiadne dôsledky.