

KÉRDÉSEK ÉS VÁLASZOK A FORGALOMBA HOZATALI ENGEDÉLY IRÁNTI KÉRELEM VISSZAVONÁSÁVAL KAPCSOLATBAN ORBEC

Nemzetközi szabadnév (INN): *beclomethasone dipropionate*

2008. május 22-én a DOR BIOPHARMA UK Ltd hivatalosan értesítette az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottságát (CHMP), hogy vissza kívánja vonni a gasztrointesztinális graft-versus-host betegség kezelésére szánt orBec forgalomba hozatali engedélyezése iránti kérelmét. Az orBec 2002. március 13-án „ritka betegségek gyógyszere” megjelölést kapott.

Milyen típusú gyógyszer az orBec?

Az orBec egy gyógyszer, amely hatóanyagként beklometazon-dipropionátot tartalmaz. A tervek szerint két különálló, egyidejű bevételre szánt tablettaként hozták volna forgalomba: egy azonnali felszabadulású tablettát (az azonnali felszabadulását azt jelenti, hogy a tablettát úgy alakították ki, hogy a hatóanyag azonnal felszabaduljon) és egy gyomorbéli emésztéssel szemben ellenálló tablettát formájában (a gyomorbéli emésztéssel szemben ellenálló azt jelenti, hogy a tablettát tartalma lebomlás nélkül halad át a gyomron, amíg a bélbe nem ér).

Milyen betegségek kezelésére szánták az orBecet?

Az orBecet a gasztrointesztinális graft-versus-host betegség kezelésére kívánták alkalmazni. A graft-versus-host betegség szövet- vagy szervátültetés után alakulhat ki a betegeknek, amikor az átültetett szövetben vagy szervben található sejtek a beteg sejtjeit „idegenként” ismerik fel, és megtámadják a szervezetét. A gasztrointesztinális graft-versus-host betegségben szenvedő betegek gyomra és belei károsodnak, ami e szervek súlyos gyulladást okozza.

Milyen hatásmechanizmust vártak az orBectől?

Az orBec hatóanyaga, a beklometazon-dipropionát egy kortikoszteroid, amelyet az 1970-es évek óta alkalmaznak belélegzett, illetve az orban és bőrön alkalmazott gyógyszerekben. Hatását az immunrendszer (a szervezet természetes védekező rendszere) aktivitásának csökkentése révén fejti ki, azáltal, hogy a különféle immunsejtek receptoraihoz kötődik. Az orBec esetében a beklometazon-dipropionátot a tervek szerint szájon át kellett volna bevenni, hogy a gyomorban és a bélben fejthesse ki a hatását. A várakozások szerint a gyomor és a belek receptorait gátolta volna, helyileg csökkentve az idegen sejtek felismerésében és a gyulladással járó folyamatban szerepet játszó anyagok termelődését. Azt várták, hogy ez a gyomrot és a beleket érő károsodás csökkenéséhez vezet.

Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a CHMP-nek a kérelem alátámasztására?

A kérelmező a tudományos szakirodalomban a beklometazon-dipropionáttal kapcsolatban szereplő kísérleti modellekről nyújtott be adatokat.

Az orBec hatékonyságát egy fővizsgálatban tanulmányozták, amelyben az orBecet placebóval (hatóanyag nélküli kezelés) hasonlították össze 129, gasztrointesztinális graft-versus-host betegségben szenvedő betegnél. A hatékonyság fő mércéje az volt, hogy mennyi idő telt el az 50 napos kezelés során addig, amíg a kezelés hatástalanná vált.

A visszavonás előtt meddig jutott el a kérelem az elbírálási folyamatban?

A vállalat a benyújtást követő 180. napon vonta vissza a kérelmet.

Miután a CHMP értékelte a vállalatnak a kérdéssorokra adott válaszait, még mindig maradt néhány megoldatlan probléma.

Rendes esetben a CHMP-nek 210 napra van szüksége egy új kérelem kiértékeléséhez. Az eredetileg benyújtott dokumentáció áttekintése alapján a CHMP a 120. napon listát állít össze a kérdésekből, amelyet elküld a vállalat részére. Miután a vállalat válaszolt a kérdésekre, a CHMP áttekinti a válaszokat, és mielőtt véleményt adna, a 180. napon felteheti a még nyitva maradt kérdéseket. A CHMP állásfoglalását követően rendszerint körülbelül két hónap telik el, amíg az Európai Bizottság kiadja az engedélyt.

Mit tartalmazott a CHMP ajánlása az adott időpontban?

A visszavonás időpontjában, az adatok és a vállalat által a CHMP listáján szereplő kérdésekre adott válaszok áttekintése alapján a CHMP-nek néhány aggálya merült fel, és az volt az ideiglenes véleménye, hogy az orBec alkalmazása nem engedélyezhető a gasztrointesztinális graft-versus-host betegség kezelésére.

Mik voltak a CHMP legfőbb aggályai?

A CHMP aggodalmát fejezte ki amiatt, hogy a fővizsgálat nem igazolta az orBec hatékonyságát. Az orBec a placebónál nem bizonyult szignifikánsan jobbnak a tekintetben, hogy mennyivel növelte a betegség ismételt megjelenéséig eltelt időt az 50 napos kezelési időszakban. A CHMP azzal kapcsolatban is aggályainak adott hangot, hogy a vizsgálatban részt vevő betegek zömét ugyanazon a vizsgálóhelyen vették fel a vizsgálatba, ezért az eredmények nem reprezentatívak a teljes betegpopulációra nézve. A bizottság ezenfelül megállapította, hogy hiányoznak az adatok annak igazolásához, hogy az orBec hatóanyaga a gyomorban és a belekben fejti ki a hatását, amikor a gasztrointesztinális graft-versus-host betegség kezelésére alkalmazzák.

Ezek alapján, a visszavonás időpontjában a CHMP meglátása szerint az orBec előnyei tudományosan nem igazolódtak kellő mértékben, illetve nem haladták meg az ismert kockázatokat.

Mivel indokolta a vállalat a kérelem visszavonását?

A vállalatnak az EMEA-t a kérelem visszavonásáról értesítő levele [itt](#) található.

Milyen következményekkel jár a visszavonás azokra a betegekre nézve, akik részt vettek az orBeckel folytatott klinikai vizsgálatokban vagy engedélyezés előtti kezelési programokban?

A vállalat arról tájékoztatta a CHMP-t, hogy a visszavonásnak az orBeckel végzett klinikai vizsgálatokban vagy engedélyezés előtti kezelési programokban jelenleg részt vevő betegekre nézve nincsenek következményei.

Ha Ön ilyen klinikai vizsgálatban vagy engedélyezés előtti kezelési programban vesz részt, és további információra van szüksége a kezelését illetően, lépjen kapcsolatba kezelőorvosával!