

## **Otázky a odpovědi týkající se stažení žádosti o vydání rozhodnutí o registraci přípravku Theraloc**

Mezinárodní nechráněný název (INN): *nimotuzumab*

Dne 1. prosince 2008 společnost Oncoscience AG oficiálně oznámila Výboru pro humánní léčivé přípravky (CHMP), že se rozhodla stáhnout svou žádost o vydání rozhodnutí o registraci přípravku Theraloc určeného k léčbě dětí a dospívajících s rezistentním nebo rekurentním gliomem vysokého stupně. Přípravek Theraloc byl označen jako léčivý přípravek pro vzácná onemocnění dne 2. září 2004.

### **Co je Theraloc?**

Přípravek Theraloc je koncentrát pro přípravu infuzního roztoku (kapání do žíly). Obsahuje léčivou látku nimotuzumab.

### **Na co měl být přípravek Theraloc používán?**

Přípravek Theraloc měl být používán k léčbě dospívajících pacientů a dětí ve věku od tří let s gliomem vysokého stupně. Gliom je typ nádoru mozku, který začíná v „gliových“ buňkách (buňky, které obklopují a podporují nervové buňky). Přípravek Theraloc měl být používán v případech, kdy je gliom „rezistentní“ (nereaguje na jinou léčbu) nebo „rekurentní“ (znovu se objevil po předchozí léčbě).

### **Jak měl přípravek Theraloc působit?**

Léčivá látka přípravku Theraloc, nimotuzumab, je monoklonální protilátka. Monoklonální protilátka je protilátka (typ bílkoviny), která byla vyvinuta tak, aby rozpoznala zvláštní strukturu (zvanou antigen) nacházející se na určitých buňkách v těle a navázala se na ni. Nimotuzumab se váže na antigen nazývaný receptor epidermálního růstového faktoru (EGFR), bílkovinu, která se nachází na povrchu určitých nádorových buněk. Je-li EGFR aktivován, usnadňuje růst, množení a šíření nádorových buněk. Nimotuzumab měl blokováním EGFR zpomalovat progresi gliomu.

### **Jakou dokumentaci předložila společnost výboru CHMP na podporu své žádosti?**

Účinky přípravku Theraloc byly nejdříve zkoumány na experimentálních modelech a teprve potom byly zkoumány na lidech.

Přípravek Theraloc byl zkoumán v jedné hlavní studii, do které bylo zařazeno 47 dětí a dospívajících s gliomem, pro něž nebyla k dispozici žádná léčba, která by mohla jejich onemocnění léčit. Přípravek Theraloc nebyl srovnáván s žádnou jinou léčbou. Hlavním měřítkem účinnosti byl počet pacientů reagujících na léčbu. Pacient byl hodnocen jako reagující na léčbu, pokud nádory zmizely, zmenšily se nebo zůstaly stejně velké.

### **V jaké fázi bylo posuzování žádosti v době, kdy byla stažena?**

Společnost stáhla svou žádost 173. den od jejího podání. Výbor CHMP vyhodnotil odpovědi společnosti na předložený seznam otázek, nicméně některé otázky zůstaly stále nedořešeny. Výbor CHMP obvykle posoudí novou žádost do 210 dní. Na základě posouzení výchozí dokumentace výbor CHMP vypracuje seznam otázek (120. den), který je zaslán společnosti. Jakmile společnost předloží odpovědi na otázky, výbor CHMP je vyhodnotí a před vydáním stanoviska může společnosti

položít další otázky (180. den). Poté, co výbor CHMP vydá své stanovisko, Evropská komise obvykle udělí registraci přibližně do dvou měsíců.

### **Jaké bylo doporučení výboru CHMP v dané době?**

Na základě vyhodnocení dostupných údajů a odpovědí společnosti na seznam otázek předložený výborem CHMP v době stažení žádosti měl výbor určité pochybnosti a jeho prozatímní stanovisko bylo, že přípravek Theraloc nemůže být schválen k léčbě dětí a dospívajících s rekurentním gliomem vysokého stupně.

### **Čím byl výbor CHMP nejvíce znepokojen?**

Výbor CHMP byl znepokojen tím, že společnost nepředložila dostatečné důkazy, které by prokazovaly, že přípravek Theraloc může být vyráběn spolehlivým způsobem, a že nebyly poskytnuty dostatečné informace o způsobu, jakým organismus reaguje na přípravek.

Výbor byl znepokojen tím, že přínosy přípravku Theraloc nebyly prokázány, protože hlavní studie nedokázala přínos přípravku z hlediska přežití pacientů a u žádného z pacientů léčených přípravkem Theraloc nedošlo k úplnému vymizení nádorů. Navíc nebylo zřejmé, zda všichni pacienti zařazení do studie měli rezistentní nebo rekurentní onemocnění.

Výbor CHMP rovněž vyjádřil obavy ohledně bezpečnosti přípravku. Nebyly předloženy žádné informace o tom, zda bude organismus proti přípravku vytvářet protilátky, a byl pozorován vysoký výskyt závažných vedlejších účinků.

Proto výbor CHMP v době stažení žádosti zastával názor, že přínos přípravku Theraloc nebyl dostatečným způsobem prokázán a že přínosy tohoto přípravku nepřevyšují zjištěná rizika.

### **Jaké důvody stažení žádosti uvedla společnost?**

Dopis, v němž společnost uvědomuje agenturu EMEA o svém rozhodnutí stáhnout žádost, je k dispozici [zde](#).

### **Jaké jsou důsledky stažení žádosti pro pacienty zařazené do klinických studií nebo do programů, v nichž je přípravek Theraloc podáván v rámci zvláštní léčby z humánních důvodů (na základě principu tzv. compassionate use)?**

Společnost informovala výbor CHMP, že stažení žádosti nemá žádné důsledky pro pacienty, kteří jsou v současné době zařazení do klinických studií nebo do programů v rámci tzv. compassionate use s použitím přípravku Theraloc.

Pokud jste zařazení do klinické studie nebo programu podávání přípravku v rámci zvláštní léčby z humánních důvodů (na základě principu tzv. compassionate use) a potřebujete získat více informací o své léčbě, obraťte se na lékaře, který vám přípravek podává.