

**Ερωτήσεις και απαντήσεις σχετικά με την απόσυρση της αίτησης για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας στο
Theraloc**

Κοινόχρηστη διεθνής ονομασία (INN): *νιμοτουζουμάμπη*

Την 1η Δεκεμβρίου 2008, η Oncoscience AG κοινοποίησε επίσημα στην Επιτροπή Φαρμάκων για Ανθρώπινη Χρήση (CHMP) την πρόθεσή της να αποσύρει την αίτηση για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας για το Theraloc, για τη θεραπεία παιδιών και εφήβων με ανθεκτικό ή υποτροπιάζον γλοίωμα υψηλού βαθμού κακοήθειας. Στις 2 Σεπτεμβρίου 2004, το Theraloc χαρακτηρίστηκε ορφανό φάρμακο.

Τι είναι το Theraloc;

Το Theraloc είναι πυκνό διάλυμα για την παρασκευή διαλύματος προς έγχυση (ενστάλαξη σε φλέβα). Περιέχει τη δραστική ουσία νιμοτουζουμάμπη.

Σε ποιες περιπτώσεις επρόκειτο να χρησιμοποιηθεί το Theraloc;

Το Theraloc επρόκειτο να χρησιμοποιηθεί για τη θεραπεία εφήβων και παιδιών ηλικίας από τριών ετών και άνω με γλοίωμα υψηλού βαθμού κακοήθειας. Το γλοίωμα είναι ένας τύπος εγκεφαλικού όγκου που ξεκινάει από τα γλοιακά κύτταρα (τα κύτταρα που περιβάλλουν και στηρίζουν τα νευρικά κύτταρα). Το Theraloc επρόκειτο να χρησιμοποιηθεί στις περιπτώσεις που το γλοίωμα ήταν «ανθεκτικό» (δεν αποκρινόταν σε άλλες θεραπείες) ή «υποτροπιάζον» (επανεμφανίζεται μετά από προηγούμενη θεραπεία).

Ποια είναι η αναμενόμενη δράση του Theraloc;

Η δραστική ουσία του Theraloc, η νιμοτουζουμάμπη, είναι μονοκλωνικό αντίσωμα. Το μονοκλωνικό αντίσωμα είναι ένα αντίσωμα (τύπος πρωτεΐνης) που μπορεί να αναγνωρίζει και να προσκολλάται σε μια συγκεκριμένη δομή (αποκαλούμενη αντιγόνο) η οποία υπάρχει σε ορισμένα κύτταρα του οργανισμού. Η νιμοτουζουμάμπη προσκολλάται σε ένα αντιγόνο που ονομάζεται υποδοχέας του επιδερμικού αυξητικού παράγοντα (EGFR), μια πρωτεΐνη που υπάρχει στην επιφάνεια ορισμένων καρκινικών κυττάρων. Ο EGFR, όταν ενεργοποιείται, βοηθάει στην ανάπτυξη, στον πολλαπλασιασμό και στην εξάπλωση των καρκινικών κυττάρων. Η νιμοτουζουμάμπη, αναστέλλοντας τη δράση του EGFR, αναμενόταν να επιβραδύνει την εξέλιξη του γλοιώματος.

Τι είδους τεκμηρίωση υποβλήθηκε από την παρασκευάστρια εταιρεία προς στήριξη της αίτησης στην CHMP;

Τα αποτελέσματα του Theraloc ελέγχθηκαν αρχικά σε πειραματικά μοντέλα προτού να μελετηθούν σε ανθρώπους.

Διενεργήθηκε μία βασική μελέτη για το Theraloc στην οποία μετείχαν 47 παιδιά και έφηβοι με γλοίωμα για τους οποίους δεν υπήρχαν διαθέσιμες θεραπείες που να μπορούν να επιφέρουν ίαση της νόσου. Τα αποτελέσματα του Theraloc δεν συγκρίθηκαν με αυτά άλλης θεραπείας. Ο κύριος δείκτης μέτρησης της αποτελεσματικότητας ήταν ο αριθμός των ασθενών που αποκρίθηκαν στη θεραπεία. Ένας ασθενής ταξινομείται ως «αποκρινόμενος» όταν οι όγκοι του εξαφανιστούν, συρρικνωθούν ή παραμείνουν στο ίδιο μέγεθος.

Σε ποιο στάδιο της αξιολόγησης βρισκόταν η αίτηση τη στιγμή της απόσυρσης;

Τη στιγμή της απόσυρσης από την εταιρεία η αίτηση βρισκόταν στην ημέρα 173. Μετά το πέρας της αξιολόγησης από την CHMP των απαντήσεων της εταιρείας στον σχετικό κατάλογο ερωτήσεων, εκκρεμούσαν ακόμη ορισμένα ζητήματα.

Η αξιολόγηση μιας νέας αίτησης από την CHMP διαρκεί κατά κανόνα έως και 210 ημέρες. Βάσει της εξέτασης της αρχικής τεκμηρίωσης, η CHMP καταρτίζει έναν κατάλογο ερωτήσεων την ημέρα 120, τον οποίο αποστέλλει στην παρασκευάστρια εταιρεία. Αφής στιγμής η εταιρεία υποβάλλει τις απαντήσεις της στις ερωτήσεις, η CHMP τις εξετάζει και ενδεχομένως θέτει τυχόν συμπληρωματικές ερωτήσεις την ημέρα 180, πριν από την έκδοση γνώμης. Μετά την έκδοση γνώμης από την CHMP, η Ευρωπαϊκή Επιτροπή χορηγεί άδεια κυκλοφορίας σε χρονικό διάστημα δύο περίπου μηνών.

Ποια ήταν η σύσταση της CHMP τη στιγμή της απόσυρσης;

Σύμφωνα με την εξέταση των δεδομένων και την απάντηση της εταιρείας στον κατάλογο των ερωτήσεων που κατάρτισε η CHMP, τη στιγμή της απόσυρσης η CHMP εξέφρασε κάποιες ανησυχίες και διατύπωσε την προσωρινή γνώμη ότι το Theraloc δεν μπορεί να λάβει έγκριση για τη θεραπεία παιδιών και εφήβων με υποτροπιάζον γλοιώμα υψηλού βαθμού κακοήθειας.

Ποιες ήταν οι κύριες ανησυχίες της CHMP;

Η CHMP εξέφρασε την ανησυχία της ότι η εταιρεία δεν παρείχε επαρκείς αποδείξεις προκειμένου να καταδείξει ότι το Theraloc μπορεί να παρασκευαστεί με αξιόπιστο τρόπο, καθώς και ότι οι πληροφορίες που υποβλήθηκαν σχετικά με τον τρόπο με τον οποίο αντιδρά ο οργανισμός στο φάρμακο ήταν ανεπαρκείς.

Η επιτροπή εξέφρασε ανησυχίες ότι τα οφέλη του Theraloc δεν έχουν καταδειχθεί, επειδή η βασική μελέτη δεν κατέδειξε όφελος σε ό,τι αφορά την επιβίωση και κανένας από τους ασθενείς που έλαβαν Theraloc δεν παρουσίασε πλήρη εξαφάνιση των όγκων. Επιπλέον, δεν ήταν σαφές εάν όλοι οι ασθενείς που μετείχαν στη μελέτη έπασχαν από ανθεκτική ή υποτροπιάζουσα νόσο.

Η CHMP εξέφρασε επίσης την ανησυχία της σχετικά με την ασφάλεια του φαρμάκου. Δεν υποβλήθηκαν πληροφορίες σχετικά με το εάν ο οργανισμός θα παρήγαγε αντισώματα κατά του φαρμάκου και η συχνότητα εμφάνισης σοβαρών ανεπιθύμητων ενεργειών ήταν υψηλή.

Ως εκ τούτου, τη στιγμή της απόσυρσης η γνώμη της CHMP ήταν ότι δεν έχει καταδειχθεί επαρκώς το όφελος του Theraloc και οποιαδήποτε οφέλη του δεν υπερτερούν των διαπιστωθέντων κινδύνων.

Ποιοι ήταν οι λόγοι απόσυρσης της αίτησης που παρέθεσε η εταιρεία;

Η επιστολή με την οποία η παρασκευάστρια εταιρεία κοινοποίησε στον EMEA την απόσυρση της αίτησης διατίθεται [εδώ](#).

Ποιες είναι οι επιπτώσεις από την απόσυρση της αίτησης στους ασθενείς που συμμετέχουν σε κλινικές δοκιμές / προγράμματα παρηγορητικής χρήσης με Theraloc;

Η εταιρεία πληροφόρησε την CHMP ότι δεν υπάρχει καμία επίπτωση στους ασθενείς που συμμετέχουν επί του παρόντος σε κλινικές δοκιμές ή σε προγράμματα παρηγορητικής χρήσης με Theraloc.

Εάν συμμετέχετε σε κλινική δοκιμή ή πρόγραμμα παρηγορητικής χρήσης και χρειάζεστε περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη θεραπεία σας, συμβουλευθείτε τον γιατρό που σας την χορηγεί.