



London, 2008. december 19.

Dok. hiv.

**Kérdések és válaszok a
Theraloc-ra
vonatkozó forgalomba hozatali engedély iránti kérelem visszavonásával kapcsolatban**

Nemzetközi szabadnév (INN): *nimotuzumab*

2008. december 1-jén az Oncoscience AG hivatalosan értesítette az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottságát (CHMP), hogy vissza kívánja vonni a high-grade, rezisztens vagy kiújuló gliómában szenvedő gyermekek és serdülők kezelésére szánt Theraloc-ra vonatkozó forgalomba hozatali engedély iránti kérelmét. A Theraloc-ot 2004. szeptember 2-án ritka betegségek gyógyszerévé minősítették.

Milyen típusú gyógyszer a Theraloc?

A Theraloc egy koncentrátum, oldatos infúzió készítéséhez (vénába történő becsepegtetésre). Hatóanyagként nimotuzumabot tartalmaz.

Milyen betegségek kezelésére szánták a Theraloc-ot?

A Theraloc-ot olyan háromévesnél idősebb gyermekek és serdülők kezelésére szánták, akik high-grade gliómában szenvednek. A glioma az agydaganat egy olyan típusa, mely a glia-sejtekből (az idegsejteket körülvevő, azokat alátámasztó sejtek) indul ki. A Theraloc-ot olyan gliómák esetében alkalmazták volna, amikor a daganat 'rezisztens' (azaz nem reagál más kezelésre) vagy 'kiújuló' (egy korábbi kezelést követően visszatér).

Milyen hatásmechanizmust vártak a Theraloc-tól?

A Theraloc hatóanyaga, a nimotuzumab egy monoklonális antitest. A monoklonális antitest olyan antitest (egyfajta fehérje), amelyet úgy alakítottak ki, hogy a szervezet bizonyos sejtjein található meghatározott struktúrát (úgynevezett antigént) felismerje, és ahhoz kötődjön. A nimotuzumab egy olyan antigénhez kötődik, amelynek neve epidermális növekedési faktor receptor (EGFR). Ez a fehérje bizonyos daganatsejtek felszínén található meg. Aktiválását követően az EGFR segíti a daganatsejtek növekedését, szaporodását és terjedését. Úgy várták, hogy a nimotuzumab az EGFR gátlásával lelassítja a glióma előrehaladását.

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

A Theraloc hatásait az emberek részvételével végzett vizsgálatok előtt először kísérleti modelleken tesztelték.

A Theraloc-ot egy fő vizsgálatban tanulmányozták, amelyben 47 olyan gliómában szenvedő gyermek és serdülő vett részt, akiknek nem állt rendelkezésére olyan kezelés, amely a betegségüket gyógyíthatta volna. A Theraloc-ot nem hasonlították össze egyetlen más kezeléssel sem. A hatásosság fő mércéje a kezelésre reagáló betegek száma volt. A betegeket reagálóként osztályozták, ha a daganatuk eltűnt, kisebb lett vagy ugyanakkora maradt.

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

A vállalat a kérelmet a benyújtást követő 173. napon vonta vissza. Azt követően, hogy a CHMP értékelte a vállalatnak a kérdéssorokra adott válaszait, még mindig maradt néhány megoldatlan probléma.

Szokásos esetben a CHMP-nek 210 napra van szüksége egy új kérelem kiértékelésére. Az eredetileg benyújtott dokumentáció áttekintése alapján a CHMP a 120. napon listát állít össze a kérdésekről, amelyet elküld a vállalat részére. Miután a vállalat válaszolt a kérdésekre, a CHMP véleményezés előtt áttekinti azokat, és további, nyitva maradt kérdéseket tehet fel a 180. napon. 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 a Theraloc alkalmazása nem engedélyezhető a kiújuló, high-grade gliómában szenvedő gyermekek és serdülők kezelésére.

Mik voltak a CHMP legfőbb aggályai?

A CHMP aggodalmát fejezte ki arra vonatkozóan, hogy a vállalat nem nyújtott be elégséges bizonyítékot arra nézve, hogy a Theraloc-ot megbízhatóan lehet gyártani, továbbá elégtelen információ állt rendelkezésre azzal kapcsolatban, hogy a szervezet hogyan kezeli a gyógyszert. A bizottság aggályosnak találta, hogy a Theraloc előnyeit nem igazolták, mivel a fő vizsgálat nem mutatott előnyt a túlélés tekintetében, továbbá a Theraloc-kal kezelt betegek közül egynél sem tűnt el a daganat teljes mértékben. Ezen felül, nem került tisztázásra, hogy a vizsgálatba bevont betegeknek rezisztens vagy kiújuló betegséjük volt-e.

A CHMP a gyógyszer biztonságosságát is aggályosnak találta. Nem nyújtottak be információt arra vonatkozóan, hogy a szervezet termel-e antitesteket a gyógyszer ellen, továbbá nagy arányban fordultak elő súlyos mellékhatások is a szer alkalmazásával kapcsolatban.

Ezek alapján, a visszavonás időpontjában a CHMP meglátása szerint a Theraloc 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 Theraloc-kal folytatott klinikai vizsgálatokban vagy engedélyezés előtti kezelési programokban?

A vállalat tájékoztatta a CHMP-t arról, hogy a visszavonásnak a Theraloc-kal végzett klinikai vizsgálatokban vagy engedélyezés előtti kezelési programokban jelenleg résztvevő betegekre nézve nincsenek következményei.

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