

Otázky a odpovede týkajúce sa stiahnutia žiadosti o povolenie na uvedenie na trh pre Theraloc

Medzinárodný nechránený názov lieku (INN): *nimotuzumab*

Dňa 1. decembra 2008 spoločnosť Oncoscience AG oficiálne oznámila výboru pre lieky na humánne použitie (CHMP) rozhodnutie stiahnuť svoju žiadosť o povolenie na uvedenie lieku Theraloc na trh určeného na liečbu detí a adolescentov s rezistentným alebo rekurentným gliómom vysokého stupňa. Theraloc bol dňa 2. septembra 2004 označený za liek na ojedinelé ochorenia.

Čo je liek Theraloc?

Theraloc je koncentrát, z ktorého sa pripravuje infúzny roztok (kvapka do žily). Obsahuje účinnú látku nimotuzumab.

Aké bolo predpokladané použitie lieku Theraloc?

Theraloc sa mal používať na liečbu adolescentov a detí starších ako tri roky s gliómom vysokého stupňa. Glióm je typ mozgového tumoru, ktorý vzniká v gliových bunkách (bunky, ktoré obklopujú a podporujú nervové bunky). Liek Theraloc sa mal používať v prípade rezistentného gliómu (t. j. ktorý nereagoval na inú liečbu) alebo rekurentného gliómu (t. j. ktorý sa vrátil po predchádzajúcej liečbe).

Akým spôsobom by mal Theraloc účinkovať?

Účinná látka lieku Theraloc, nimotuzumab, je monoklonálna protilátka. Monoklonálna protilátka je protilátka (typ proteínu) vytvorená tak, že rozozná špecifickú štruktúru (nazýva sa antigén), ktorá sa nachádza na určitých bunkách v tele, a naviaže sa na ňu. Nimotuzumab sa viaže na antigén, ktorý sa nazýva receptor epidermálneho rastového faktora (EGFR), čo je bielkovina, ktorá sa môže nachádzať na povrchu buniek určitých tumorov. Keď je receptor epidermálneho rastového faktora aktivovaný, pomáha bunkám tumoru rásť, množiť a šíriť sa. Zablokovaním receptora epidermálneho rastového faktora mal nimotuzumab spomaliť rast gliómu.

Akou dokumentáciou podložila spoločnosť svoju žiadosť pred výborom CHMP?

Účinok lieku Theraloc sa najprv skúmal na pokusných modeloch a potom na ľuďoch. Theraloc sa skúmal v jednej hlavnej štúdii zahŕňajúcej 47 detí a adolescentov s gliómom, pre ktorých nebola dostupná žiadna liečba, ktorou by sa dalo liečiť ich ochorenie. Theraloc sa neporovnával so žiadnou inou liečbou. Hlavnou mierou účinnosti bol počet pacientov, ktorí reagovali na liečbu. Pacient bol klasifikovaný ako reagujúci na liečbu, keď tumory zmizli, zmenšili sa alebo ostali v rovnakej veľkosti.

V akej fáze hodnotenia bola žiadosť v čase stiahnutia?

Spoločnosť stiahla žiadosť na 173. deň od jej podania. Po preskúmaní odpovedí na zoznam otázok od spoločnosti výborom CHMP ostali niektoré otázky nevyriešené.

Výbor CHMP má za normálnych okolností lehotu 210 dní na posúdenie novej žiadosti. Na základe preskúmania pôvodnej dokumentácie výbor CHMP pripraví zoznam otázok 120 dní po podaní žiadosti, ktorý sa pošle spoločnosti. Keď spoločnosť predloží odpovede na položené otázky, výbor CHMP ich preskúma a pred vydaním stanoviska môže spoločnosti položiť prípadné ďalšie otázky

(180. deň). Po vydaní stanoviska výboru CHMP trvá zvyčajne 2 mesiace, kým Európska komisia vydá povolenie.

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 výhrady a jeho predbežné stanovisko bolo, že liek Theraloc nemôže byť schválený na liečbu detí a adolescentov s rekurentným gliómom vysokého stupňa.

Aké boli hlavné výhrady výboru CHMP?

Výbor CHMP mal výhrady, že spoločnosť nepredložila dostatočné dôkazy o spoľahlivom spôsobe výroby lieku Theraloc a že boli predložené nedostatočné informácie o spôsobe spracovania lieku v tele.

Výbor mal výhrady, že prínos lieku Theraloc nebol preukázaný, pretože hlavná štúdia nepreukázala prínos so zreteľom na prežitie a u žiadneho z pacientov liečených liekom Theraloc nedošlo k úplnému zmiznutiu tumorov. Okrem toho nebolo jasné, či všetci pacienti zapojení do štúdie mali rezistentné alebo rekurentné ochorenie.

Výbor CHMP mal tiež výhrady týkajúce sa bezpečnosti lieku. Neboli predložené žiadne informácie o tom, či telo vytvára protilátky proti lieku a pozorovala sa vysoká miera závažných vedľajších účinkov.

Preto bol výbor CHMP v čase stiahnutia žiadosti toho názoru, že prínos lieku Theraloc nebol dostatočne preukázaný a že neprevyšoval jeho zistené riziká.

Aké dôvody na stiahnutie žiadosti uviedla spoločnosť?

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

Aké sú dôsledky stiahnutia žiadosti pre pacientov, ktorí sa zúčastňujú klinických štúdií alebo programov na použitie lieku Theraloc v naliehavých prípadoch?

Spoločnosť informovala výbor CHMP, že pre pacientov, ktorí sú v súčasnosti zapojení do klinických skúšok alebo programov na použitie lieku Theraloc v naliehavých prípadoch, nevyplývajú žiadne dôsledky.

Ak ste však účastníkom klinickej štúdie alebo programu na použitie lieku v naliehavých prípadoch a potrebujete viac informácií o svojej liečbe, obráťte sa na svojho ošetrojúceho lekára.