



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2010. március 18.  
EMA/152214/2010  
EMA/H/C/1103

## Kérdések és válaszok

---

# A Cerepro-ra (szitimagén ceradenovek) vonatkozó forgalomba hozatali engedély iránti kérelem visszavonása

2010. március 8-án az Ark Therapeutics hivatalosan értesítette az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottságát (CHMP), hogy vissza kívánja vonni a magas malignitású operábilis gliomában szenvedő betegek kezelésére szánt, ganciklovir-nátriummal együtt alkalmazandó Cerepro-ra vonatkozó forgalomba hozatali engedély iránti kérelemét.

## Milyen típusú gyógyszer a Cerepro?

A Cerepro oldatos injekcióhoz való koncentrátum, amely hatóanyagként szitimagén ceradenoveket tartalmaz.

A Cerepro, amelyet fejlett terápiás gyógyszerként fejlesztették ki, „génterápiás készítmény”. Ez olyan gyógyszerfajta, amely géneket juttat a szervezetbe és ezáltal fejti ki hatását.

## Milyen betegségek kezelésére szánták a Cerepro-t?

A várakozások szerint a Cerepro-t ganciklovir-nátriummal kombinálva alkalmazták volna magas malignitású gliomában szenvedő operálható betegek kezelésére. A glioma az agydaganat egy olyan típusa, mely a gliá-sejtekből (az idegsejteket körülvevő, azokat alátámasztó sejtek) indul ki.

A Cerepro 2002. február 6-án megkapta a ritka betegség gyógyszere minősítést magas malignitású glioma kezelésére.

## Milyen hatásmechanizmust vártak a Cerepro-tól?

A Cerepro hatóanyaga, a szitimagén ceradenovek egy vírustípus, melyet genetikailag úgy változtattak meg, hogy képes legyen a timidin-kináz fehérjéhez tartozó génnek a szervezetbe való bevitelére. A Cerepro-ban lévő vírus egy „adenovírus”, amely úgy lett kialakítva, hogy önmagát nem képes lemásolni, és ezért nem okoz fertőzést az emberi szervezetben.



A Cerepro injekciónak a műtét során az agyba történő beadásakor az injekció beadási helyéhez közeli területen lévő sejtek veszik fel a módosított vírust. Ezután kezdik el a sejtek a timidin-kináz termelését. A várakozások alapján ez a fehérje segítette volna elő a ganciklovir-nátriumnak olyan vegyületté történő átalakulását, amely képes az osztódó sejtek elpusztítására. A ganciklovir-nátrium által elpusztítandó sejtek főleg a gyorsan osztódó ráksejtek lettek volna. A vélekedések szerint a normál idegsejtekre és a tumoron kívüli sejtekre enyhébb hatását gyakorolt volna a vegyület.

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

A Cerepro hatásait az emberek részvételével végzett vizsgálatok előtt először kísérleti modelleken tesztelték. A vállalat egy fő vizsgálat származó adatokat is benyújtott, amelyben 251, operálható gliomában szenvedő beteg vett részt. A vizsgálat során a Cerepro-t és a ganciklovir-nátriumot a standard kezelés kiegészítéseként alkalmazva hasonlították össze az önmagában alkalmazott standard kezeléssel. A hatásosság fő mértéke a betegek túlélési ideje volt, anélkül, hogy az életüket meghosszabbító, kiegészítő kezelésre szorultak volna. A vizsgálatban a betegek túlélési idejét is tanulmányozták.

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

Az értékelés befejeződött, és a CHMP negatív szakvéleményt adott. A vállalat a negatív szakvélemény felülvizsgálatát kérte, ez azonban még nem fejeződött be, amikor visszavonta a kérelmét.

## **Mit tartalmazott a CHMP ajánlása az adott időpontban?**

Mivel a Cerepro fejlett terápiás gyógyszer, így a fejlett terápiákkal foglalkozó bizottság (CAT) értékelte. A CAT által végzett értékelést figyelembe véve, a CHMP úgy ítélte meg, hogy a fő vizsgálat eredményei, köztük a hatásosság fő mértéke alapján, a Cerepro nem bizonyult hatékonynak. Végül, a Cerepro alkalmazása olyan súlyos mellékhatások megnövekedett kockázatával is járhat, mint pl. hemiparézis (féloldali bénulás) és rohamok. Ezek a mellékhatások az igazolt hatékonyság hiányát figyelembe véve aggodalomra adtak okot.

A CHMP ekkor azon a véleményen volt, hogy mivel az előnyös hatás nem igazolódott, a Cerepro alkalmazásával járó előnyök nem haladják meg a kockázatokat, ezért a forgalomba hozatali engedély iránti kérelem elutasítását javasolta.

## **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 klinikai tesztelésekben vagy engedélyezés előtti kezelési programokban?**

A vállalat tájékoztatta a CHMP-t, hogy a visszavonás idején a Cerepro-val nem folytak klinikai vizsgálatok vagy engedélyezés előtti kezelési programok.

A ritka betegségek gyógyszereivel foglalkozó bizottság Cerepro-ra vonatkozó véleményének összefoglalója [itt](#) található.