



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

16. prosince 2016
EMA/822770/2016
EMA/H/C/004023

Otázky a odpovědi

Stažení žádosti o vydání rozhodnutí o registraci přípravku Efgratin (pegfilgrastim)

Dne 16. listopadu 2016 společnost Gedeon Richter Plc oficiálně oznámila Výboru pro humánní léčivé přípravky (CHMP), že se rozhodla stáhnout svou žádost o vydání rozhodnutí o registraci přípravku Efgratin určeného ke zmírnění neutropenie.

Co je Efgratin?

Efgratin je léčivý přípravek, který obsahuje léčivou látku pegfilgrastim, která stimuluje tvorbu neutrofilů (typ bílých krvinek, který bojuje s infekcemi). K dispozici měl být ve formě injekčního roztoku pro podkožní podání.

Přípravek Efgratin byl vyvinut jako „biologicky podobný“ léčivý přípravek. Znamená to, že přípravek Efgratin měl být obdobou biologického léčivého přípravku („referenčního léčivého přípravku“), který je již v Evropské unii (EU) registrován pod názvem Neulasta. Více informací o biologicky podobných léčivých přípravcích naleznete v příslušném dokumentu otázek a odpovědí [zde](#).

K čemu měl být přípravek Efgratin používán?

Přípravek Efgratin měl být používán u pacientů s nádorovým onemocněním ke zmírnění neutropenie (nízké hladiny neutrofilů). Neutropenie je nežádoucí účinek některých cytotoxických (hubících buňky) protinádorových léčivých přípravků, protože tyto léčivé přípravky rovněž hubí bílé krvinky. Přípravek Efgratin měl být používán ke zkrácení doby trvání neutropenie a snížení výskytu febrilní neutropenie (neutropenie s horečkou).

Jak přípravek Efgratin působí?

Léčivá látka v přípravku Efgratin, pegfilgrastim, obsahuje filgrastim, který byl „pegylován“ (navázán na chemickou látku zvanou polyethylenglykol). Filgrastim je velmi podobný lidské bílkovině zvané faktor



stimulující kolonie granulocytů (G-CSF). Podporuje tvorbu neutrofilů v kostní dřeni a zlepšuje schopnost pacienta bojovat s infekcemi.

Jelikož je filgrastim pegylován, jeho odstranění z těla se zpomaluje, což umožňuje podávat léčivý přípravek méně často.

Jakou dokumentaci předložila společnost na podporu své žádosti?

Společnost předložila výsledky studií u zdravých lidí, jejichž cílem bylo prokázat, že je přípravek Efgratin velmi podobný svému referenčnímu léčivému přípravku Neulasta, pokud jde o chemickou strukturu, čistotu, způsob jeho účinku a způsob, jakým tělo s léčivým přípravkem nakládá. Další studie u pacientů léčených protinádorovými léčivými přípravky porovnávala bezpečnost a účinnost přípravků Efgratin a Neulasta.

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

Žádost byla stažena poté, co výbor CHMP posoudil dokumentaci předloženou společností a vypracoval seznamy otázek. Výbor CHMP vyhodnotil odpovědi společnosti na poslední sadu otázek, některé body však zůstaly nedořešené.

Jaké bylo doporučení výboru CHMP v dané době?

Na základě vyhodnocení dostupných údajů a odpovědí společnosti na seznam otázek výboru CHMP měl výbor CHMP v době stažení žádosti určité pochybnosti a jeho prozatímní stanovisko bylo, že přípravek Efgratin nemůže být schválen ke zmírnění neutropenie. Výbor CHMP měl obavy, že výsledky studie neprokázaly, že způsob, jakým tělo s přípravkem Efgratin nakládá, je stejný jako způsob, jakým tělo nakládá s referenčním léčivým přípravkem Neulasta.

Výbor CHMP proto v době stažení žádosti zastával názor, že společnost neprokázala, že je přípravek Efgratin podobný přípravku Neulasta.

Jaké důvody stažení žádosti uvedla společnost?

Společnost ve svém dopise, v němž uvědomuje agenturu o stažení žádosti, uvedla, že s ohledem na závěr výboru CHMP se rozhodla stáhnout svou žádost, nicméně bude pokračovat ve vývoji přípravku a bude se řídit doporučením výboru CHMP odstranit zbývající nejistotu.

Tento dopis je k dispozici [zde](#).

Jaké jsou důsledky stažení žádosti pro pacienty zařazené do klinických studií?

Společnost informovala výbor CHMP, že v současné době neprobíhají žádné klinické studie ani programy, v nichž by byl přípravek Efgratin podáván v rámci léčby z humanitních důvodů.