



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Kérdések és válaszok

---

# Az Efgratin-ra (pegfilgrasztim) vonatkozó forgalomba hozatali engedély iránti kérelem visszavonása

2016. november 16-án a Gedeon Richter Plc hivatalosan értesítette az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottságát (CHMP), hogy vissza kívánja vonni a neutropénia csökkentésére szánt Efgratin-ra vonatkozó forgalomba hozatali engedély iránti kérelmét.

## Milyen típusú gyógyszer az Efgratin?

Az Efgratin egy pegfilgrasztim nevű hatóanyagot tartalmazó gyógyszer, amely fokozza a neutrofilek (a fehérvérsejtek egy típusa, amelyek a fertőzések ellen harcolnak) termelését. Bőr alá beadandó oldatos injekció formájában lett volna elérhető.

Az Efgratin-t „hasonló biológiai gyógyszerként” fejlesztették ki. Ez azt jelenti, hogy az Efgratin-t egy, az Európai Unióban már engedélyezett, Neulasta nevű biológiai gyógyszerhez (a „referenciagyógyszerhez”) nagyon hasonlónak szánták. A hasonló biológiai gyógyszerekkel kapcsolatban további információk [ebben](#) a kérdés-válasz dokumentumban található.

## Milyen alkalmazásra szánták az Efgratin-t?

Az Efgratin-t daganatos betegeknél történő alkalmazásra szánták a neutropénia (a neutrofilek alacsony száma) csökkentése céljából. A neutropénia bizonyos citotoxikus (sejtölő) daganatellenes kezelések mellékhatása, mivel a kezelés a fehérvérsejteket is pusztítja. Az Efgratin-t a neutropénia időtartamának és a lázas neutropénia előfordulási gyakoriságának csökkentésére alkalmazták volna.

## Hogyan fejti ki hatását az Efgratin?

Az Efgratin hatóanyaga, a pegfilgrasztim „pegilálalt” (polietilén-glikol nevű vegyülethez kapcsolt) filgrasztimból áll. A filgrasztim nagyon hasonlít a granulocita-kolónia stimuláló faktor (G-CSF) nevű



emberi fehérjére. Arra ösztönzi a csontvelőt, hogy több neutrofil termeljen, és javítja a beteg képességét a fertőzések leküzdésére.

Mivel a filgrasztim pegilált, kiürülése a szervezetből lelassul, ami lehetővé teszi, hogy a gyógyszert ritkábban adják be.

### **Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a kérelem alátámasztására?**

A vállalat egészséges emberekkel végzett vizsgálatok eredményeit mutatta be annak igazolására, hogy a kémiai szerkezet, a hatásmechanizmus és annak tekintetében, ahogy a szervezet a gyógyszer kezeli, az Efgratin nagyon hasonló a referencia-gyógyszeréhez, a Neulasta-hoz. Egy további, daganatellenes szerekekkel kezelt betegekkel végzett vizsgálatban az Efgratin és a Neulasta biztonságosságát és hatékonyságát hasonlították össze.

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

A kérelmet azután vonták vissza, miután a CHMP már értékelte a vállalat által benyújtott dokumentációt, és kidolgozta a kérdéslistákat. Azt követően, hogy a CHMP értékelte a vállalatnak az utolsó kérdéssorra adott válaszait, még mindig maradt néhány megoldatlan kérdés.

### **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 részéről néhány aggály merült fel, és az volt az ideiglenes véleménye, hogy az Efgratin nem engedélyezhető a neutropénia csökkentésére. A CHMP aggályát fejezte ki, hogy a vizsgálati eredmények nem igazolták, hogy az Efgratin-t a szervezet ugyanúgy kezeli, mint a referencia-gyógyszert, a Neulasta-t.

Ezért a visszavonás időpontjában a CHMP véleménye az volt, hogy a vállalat nem igazolta, hogy az Efgratin nagyon hasonló a Neulasta-hoz.

### **Mivel indokolta a vállalat a kérelem visszavonását?**

Az Ügynökséget a kérelem visszavonásáról értesítő levelében a vállalat úgy nyilatkozott, hogy megvizsgálva a CHMP következtetéseit, úgy döntött, hogy visszavonja a kérelmet, azonban folytatja a készítmény fejlesztését, és követi a CHMP tanácsát a fennálló bizonytalanságok kiküszöbölése érdekében.

A visszavonásról szóló levél [itt](#) található.

### **Milyen következményekkel jár a visszavonás azokra a betegekre nézve, akik részt vettek a klinikai vizsgálatokban?**

A vállalat tájékoztatta a CHMP-t, hogy az Efgratin-nel kapcsolatban nincs folyamatban klinikai vizsgálat vagy engedélyezés előtti kezelési program.