



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

16 dicembre 2016
EMA/822770/2016
EMA/H/C/004023

Domande e risposte

Ritiro della domanda di autorizzazione all'immissione in commercio per Efgratin (pegfilgrastim)

Il 16 novembre 2016 Gedeon Richter Plc ha notificato ufficialmente al comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) la sua intenzione di ritirare la domanda di autorizzazione all'immissione in commercio per Efgratin, per la riduzione della neutropenia.

Che cos'è Efgratin?

Efgratin è un medicinale che contiene il principio attivo pegfilgrastim, che stimola la produzione di neutrofili (un tipo di globuli bianchi che combatte le infezioni). Avrebbe dovuto essere disponibile come soluzione per iniezione sottocutanea.

Efgratin è stato sviluppato come medicinale "biosimilare". Ciò significa che Efgratin era destinato a essere simile a un medicinale biologico (il "medicinale di riferimento") già autorizzato nell'Unione europea, denominato Neulasta. Per maggiori informazioni sui medicinali biosimilari, consultare le domande e le risposte cliccando [qui](#).

Per che cosa avrebbe dovuto essere usato Efgratin?

Efgratin avrebbe dovuto essere utilizzato nei pazienti oncologici per ridurre la neutropenia (bassi livelli di neutrofili). La neutropenia è un effetto indesiderato di certi trattamenti antitumorali citotossici (distruttori di cellule), poiché i trattamenti distruggono anche i globuli bianchi. Efgratin avrebbe dovuto essere utilizzato per ridurre il protrarsi della neutropenia e l'incidenza della neutropenia febbrile (ovvero neutropenia unita a febbre).

Come agisce Efgratin?

Il principio attivo di Efgratin, pegfilgrastim, è costituito da filgrastim che è stato "pegilato" (legato a una sostanza chimica chiamata polietilenglicole). Filgrastim è molto simile a una proteina umana



chiamata fattore di stimolazione delle colonie granulocitarie (G-CSF). Stimola il midollo osseo a produrre più neutrofili e migliora la capacità del paziente di combattere le infezioni.

Poiché filgrastim è pegilato, la sua eliminazione dall'organismo è rallentata, consentendo al medicinale di essere somministrato meno sovente.

Quale documentazione ha presentato la ditta a sostegno della domanda?

La ditta ha presentato i risultati di studi condotti su soggetti sani, per dimostrare che Efgratin è altamente simile al medicinale di riferimento Neulasta in termini di struttura chimica, purezza, azione e risposta dell'organismo al medicinale. Un ulteriore studio su pazienti trattati con farmaci antitumorali metteva a confronto la sicurezza e l'efficacia di Efgratin con quelle di Neulasta.

A che punto della valutazione si trovava la domanda quando è stata ritirata?

La domanda è stata ritirata dopo che il CHMP aveva valutato la documentazione fornita dalla ditta e aveva formulato degli elenchi di domande. Dopo la valutazione da parte del CHMP delle risposte della ditta all'ultima serie di domande, alcuni problemi erano rimasti irrisolti.

Qual era la raccomandazione del CHMP a quel punto?

In base all'esame dei dati e delle risposte fornite dalla ditta all'elenco di domande poste dal CHMP, al momento del ritiro della domanda, il CHMP aveva alcuni dubbi ed era provvisoriamente del parere che Efgratin non potesse essere autorizzato per la riduzione della neutropenia. Il CHMP temeva che i risultati dello studio non avessero dimostrato che la risposta dell'organismo a Efgratin fosse analoga a quella del medicinale di riferimento Neulasta.

Pertanto, al momento del ritiro della domanda, il CHMP riteneva che la ditta non avesse dimostrato l'elevata somiglianza di Efgratin rispetto a Neulasta.

Quali sono i motivi invocati dalla ditta per il ritiro della domanda?

Nella lettera con cui notifica all'Agenzia il ritiro della domanda, la ditta ha dichiarato che, dopo aver esaminato le conclusioni del CHMP, ha deciso di ritirare la domanda ma che continuerà a sviluppare il prodotto e a seguire il parere del CHMP al fine di eliminare l'incertezza residua.

La lettera di ritiro della domanda è consultabile [qui](#).

Quali sono le conseguenze del ritiro per i pazienti inseriti in studi clinici?

La ditta ha informato il CHMP che non sono in corso studi clinici o programmi di uso compassionevole con Efgratin.