



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

16 grudnia 2016 r.
EMA/822770/2016
EMA/H/C/004023

Pytania i odpowiedzi

Wycofanie wniosku o dopuszczenie do obrotu dotyczącego produktu Efgratin (pegfilgrastym)

W dniu 16 listopada 2016 r. firma Gedeon Richter Plc powiadomiła Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) o zamiarze wycofania wniosku o dopuszczenie do obrotu produktu Efgratin, który miał być stosowany w celu skrócenia czasu trwania neutropenii.

Co to jest Efgratin?

Efgratin jest lekiem zawierającym substancję czynną pegfilgrastym, który pobudza wytwarzanie neutrofilów (rodzaju białych krwinek zwalczających zakażenia). Lek miał być dostępny w postaci roztworu do wstrzykiwań podskórnych.

Lek Efgratin opracowano jako lek biopodobny. Oznacza to, że lek Efgratin miał być podobny do leku biologicznego o nazwie Neulasta (zwanego także „lekiem referencyjnym”), który jest już dopuszczony do obrotu w Unii Europejskiej (UE). Dodatkowe informacje na temat leków biopodobnych znajdują się w dokumencie z pytaniami i odpowiedziami [tutaj](#).

W jakim celu miał być stosowany produkt Efgratin?

Lek Efgratin miał być stosowany u pacjentów z nowotworami w celu skrócenia czasu trwania neutropenii (obniżonego poziomu neutrofilów). Neutropenia jest działaniem niepożądanym określonych cytotoksycznych (zabijających komórki) terapii przeciwnowotworowych, które niszczą także białe krwinki. Lek Efgratin stosuje się w celu skrócenia czasu trwania neutropenii i zmniejszenia częstości występowania gorączki neutropenicznej (neutropenii z gorączką).

Jak działa produkt Efgratin?

Substancja czynna leku Efgratin, pegfilgrastym, to filgrastym, który został „pegylowany” (związany z substancją chemiczną o nazwie glikol polietylenowy). Filgrastym jest bardzo podobny do ludzkiego



białka zwanego czynnikiem stymulującym tworzenie kolonii granulocytów (G-CSF). Pobudza on szpik kostny do wytwarzania większej liczby neutrofilów i zwiększa zdolność organizmu pacjenta do zwalczania zakażeń.

Pegylowanie filgrastymu powoduje zmniejszenie szybkości usuwania go z organizmu, pozwalając na rzadsze podawanie leku.

Jaką dokumentację przedstawiła firma na poparcie wniosku?

Firma przedstawiła wyniki badań z udziałem osób zdrowych, które miały wykazać, że lek Efgratin jest podobny do leku referencyjnego Neulasta pod względem struktury chemicznej, czystości, sposobu działania i sposobu wykorzystywania leku przez organizm. W dalszym badaniu z udziałem pacjentów przyjmujących leki przeciwnowotworowe porównano bezpieczeństwo i skuteczność leków Efgratin i Neulasta.

Na jakim etapie znajdowała się ocena w momencie wycofania wniosku?

Wniosek wycofano po przeprowadzeniu przez CHMP oceny dokumentacji przedłożonej przez firmę i sformułowaniu list pytań. Po tym, jak CHMP ocenił odpowiedzi firmy na ostatnią serię pytań, kilka kwestii pozostało nierozwiązanych.

Jakie zalecenia wydał wówczas CHMP?

W momencie wycofania wniosku CHMP zgłosił zastrzeżenia na podstawie przeglądu danych i odpowiedzi firmy na listę pytań CHMP, i wstępna opinia wskazywała, że produkt Efgratin nie może być zatwierdzony do stosowania w celu skrócenia czasu trwania neutropenii. CHMP zgłosił zastrzeżenia, że wyniki badań nie wykazały, iż sposób wykorzystywania leku Efgratin przez organizm był taki sam jak leku referencyjnego Neulasta.

Dlatego też w momencie wycofania wniosku zdaniem CHMP firma nie udowodniła, że lek Efgratin jest podobny do leku Neulasta.

Jakie przyczyny wycofania wniosku podała firma?

W swoim piśmie powiadamiającym Agencję o wycofaniu wniosku firma oświadczyła, że po rozważeniu opinii CHMP podjęła decyzję o wycofaniu wniosku, ale zamierza kontynuować prace nad rozwojem produktu i zastosuje się do zalecenia CHMP, aby wyeliminować pozostałe wątpliwości.

Pismo powiadamiające o wycofaniu wniosku jest dostępne [tutaj](#).

Jakie są skutki wycofania dla pacjentów uczestniczących w badaniach klinicznych?

Firma powiadomiła CHMP, że nie prowadzi obecnie żadnych badań klinicznych ani „programów leczenia ostatniej szansy” z zastosowaniem produktu Efgratin.