



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Otázky a odpovede

Stiahnutie žiadosti o povolenie na uvedenie lieku Efgratin (pegfilgrastim) na trh

Dňa 16. novembra 2016 spoločnosť Gedeon Richter Plc oficiálne oznámila Výboru pre lieky na humánne použitie (CHMP) rozhodnutie stiahnuť svoju žiadosť o povolenie na uvedenie lieku Efgratin na trh, ktorý je určený na zmiernenie neutropénie.

Čo je liek Efgratin?

Liek Efgratin obsahuje účinnú látku pegfilgrastim, ktorý stimuluje tvorbu neutrofilov (druh bielych krviniek, ktoré bojujú proti infekciám). Liek mal byť dostupný ako injekčný roztok na podanie pod kožu.

Liek Efgratin bol vyvinutý ako tzv. biologicky podobný liek. To znamená, že liek Efgratin mal byť veľmi podobný biologickému lieku (tzv. referenčnému lieku), ktorý je už v Európskej únii povolený pod názvom Neulasta. Viac informácií o biologicky podobných liekoch sa nachádza v dokumente s otázkami a odpoveďami [tu](#).

Aké bolo predpokladané použitie lieku Efgratin?

Liek Efgratin sa mal používať u pacientov s rakovinou na zmiernenie neutropénie (nízkej hladiny neutrofilov). Neutropénia je vedľajší účinok určitých cytotoxických (zabíjajúcich bunky) protirakovinových liekov, keďže tieto lieky zabíjajú aj biele krvinky. Liek Efgratin sa mal používať na skrátenie doby trvania neutropénie a zníženie výskytu febrilnej neutropénie (neutropénie s horúčkou).

Akým spôsobom liek Efgratin účinkuje?

Účinná látka v lieku Efgratin, pegfilgrastim, je zložená z filgrastimu, ktorý bol „pegylovaný“ (naviazaný na chemickú látku, ktorá sa nazýva polyetylén glykol). Filgrastim je veľmi podobný ľudskému proteínu,



ktorý sa nazýva faktor stimulujúci kolónie granulocytov (G-CSF). Podporuje kostnú dreň, aby vytvárala viac neutrofilov a zlepšuje schopnosť pacienta bojovať proti infekciám.

Keďže filgrastim je pegylovaný, jeho odstránenie z tela je spomalené, čo umožňuje menej časté podávanie lieku.

Akou dokumentáciou podložila spoločnosť svoju žiadosť?

Spoločnosť predložila výsledky štúdií, na ktorých sa zúčastnili zdraví ľudia a cieľom ktorých bolo preukázať, že liek Efgratin je veľmi podobný referenčnému lieku Neulasta, pokiaľ ide o chemickú štruktúru, čistotu, spôsob účinku a spracovania lieku v tele. V ďalšej štúdii, na ktorej sa zúčastnili pacienti užívajúci protirakovinové lieky, sa porovnávala bezpečnosť a účinnosť liekov Efgratin a Neulasta.

V akej fáze hodnotenia bola žiadosť v čase stiahnutia?

Žiadosť bola stiahnutá po vyhodnotení dokumentácie, ktorú spoločnosť predložila, výborom CHMP, ktorý sformuloval zoznamy otázok. Po preskúmaní odpovedí spoločnosti na poslednú sériu otázok výborom CHMP ešte stále ostali niektoré otázky nevyriešené.

Aké bolo v tom čase odporúčanie výboru CHMP?

Na základe preskúmania údajov a odpovedí spoločnosti na zoznam otázok výboru CHMP mal výbor CHMP v čase stiahnutia žiadosti určité výhrady a dospel k predbežnému stanovisku, že liek Efgratin nemôže byť povolený na zmiernenie neutropénie. Výbor CHMP mal výhrady, že výsledkami štúdie sa nepreukázalo, že telo spracúva liek Efgratin rovnakým spôsobom ako referenčný liek Neulasta.

Výbor CHMP preto v čase stiahnutia žiadosti zastával názor, že spoločnosť nepreukázala, že liek Efgratin je veľmi podobný lieku Neulasta.

Aké dôvody na stiahnutie žiadosti uviedla spoločnosť?

Vo svojom liste oznamujúcom agentúre stiahnutie žiadosti spoločnosť uviedla, že vzhľadom na záver výboru CHMP sa rozhodla žiadosť stiahnuť, ale bude pokračovať vo vývoji lieku a dodrží odporúčanie výboru CHMP, aby odstránila zvyšné nejasnosti.

List spoločnosti oznamujúci agentúre stiahnutie žiadosti sa nachádza [tu](#).

Aké sú dôsledky stiahnutia žiadosti pre pacientov, ktorí sa zúčastňujú na klinických skúškach?

Spoločnosť informovala výbor CHMP, že neprebiehajú nijaké klinické skúšania ani programy na použitie lieku Efgratin v naliehavých prípadoch.