



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Vprašanja in odgovori

Umik vloge za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Efgratin (pegfilgrastim)

Družba Gedeon Richter Plc je 16. novembra 2016 uradno obvestila Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP), da želi umakniti vlogo za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Efgratin, namenjenim zmanjšanju nevtropenije.

Kaj je zdravilo Efgratin?

Efgratin je zdravilo, ki vsebuje zdravilno učinkovino pegfilgrastim, ki spodbuja nastajanje nevtrofilcev (vrste belih krvnih celic, ki se borijo proti okužbam). Na voljo naj bi bila v obliki raztopine za injiciranje pod kožo.

Zdravilo Efgratin je bilo razvito kot „podobno biološko zdravilo“. To pomeni, da naj bi bilo zelo podobno biološkemu zdravilu („referenčnemu zdravilu“), ki je že odobreno v Evropski uniji, in sicer zdravilu Neulasta. Za več informacij o podobnih bioloških zdravilih si oglejte dokument z vprašanji in odgovori, ki je na voljo [tukaj](#).

Za kaj naj bi se zdravilo Efgratin uporabljalo?

Zdravilo Efgratin naj bi se uporabljalo pri rakavih bolnikih za zmanjševanje nevtropenije (nizkih ravni nevtrofilcev). Nevtropenija je neželeni učinek določenih citotoksičnih zdravil za zdravljenje raka (zdravil, ki uničujejo celice), saj ta zdravila uničujejo tudi bele krvne celice. Zdravilo Efgratin naj bi se uporabljalo za skrajšanje nevtropenije ter zmanjšanje pojavljanja febrilne nevtropenije (nevtropenije s povišano telesno temperaturo).

Kako zdravilo Efgratin deluje?

Zdravilna učinkovina v zdravilu Efgratin, pegfilgrastim, je sestavljena iz filgrastima, ki je bil pegiliran (nanj je bila pritrjena kemična snov, imenovana polietilenglikol). Filgrastim je zelo podoben človeški



beljakovini, imenovani granulocitne kolonije stimulirajoči faktor (G-CSF). Filgrastim spodbuja kostni mozeg k proizvodnji večjega števila nevtrofilcev in izboljša bolnikovo sposobnost boja proti okužbam.

Ker je filgrastim pegiliran, se iz telesa odstranjuje počasneje, zato je treba zdravilo dajati manj pogosto.

Katero dokumentacijo je družba predložila v podporo svoji vlogi?

Družba je predstavila rezultate študij pri zdravih ljudeh, ki naj bi pokazale, da je zdravilo Efgratin po kemijski strukturi, čistosti, načinu delovanja in tem, kako ga telo presnavlja, zelo podobno referenčnemu zdravilu Neulasta. V drugi študiji pri bolnikih, ki so prejeli zdravila za zdravljenje raka, so primerjali varnost in učinkovitost zdravil Efgratin in Neulasta.

Kako daleč je bil postopek ocenjevanja vloge ob njenem umiku?

Vlogo so umaknili po tem, ko je odbor CHMP že ocenil dokumentacijo, ki jo je predložila družba, in oblikoval seznam vprašanj. Potem ko je odbor CHMP ocenil odgovore družbe na zadnji sklop vprašanj, so nekatera vprašanja še vedno ostala nerešena.

Kakšno je bilo takrat priporočilo odbora CHMP?

Odbor CHMP je na podlagi pregleda podatkov in odgovorov družbe na sezname vprašanj, ki jih je zastavil, ob umiku vloge izrazil določene zadržke in je začasno menil, da zdravila Efgratin ni mogoče odobriti za zmanjševanje nevtropenije. Izrazil je zaskrbljenost, da rezultati študije niso dokazali, da telo zdravilo Efgratin presnavlja na enak način kot referenčno zdravilo Neulasta.

Zato je odbor CHMP ob umiku vloge menil, da družba ni dokazala, da je zdravilo Efgratin zelo podobno zdravilu Neulasta.

Kakšni so bili razlogi družbe za umik vloge?

Družba je v dopisu, s katerim je agencijo obvestila o umiku vloge, navedla, da se je po razmisleku o sklepu odbora CHMP odločila, da bo vlogo umaknila, vendar bo zdravilo razvijala še naprej in upoštevala nasvet odbora, naj razreši obstoječi zadržek.

Dopis o umiku vloge je na voljo [tukaj](#).

Kakšne so posledice umika vloge za bolnike, ki sodelujejo v kliničnih preskušanjih?

Družba je odbor CHMP obvestila, da trenutno ne potekajo klinična preskušanja ali programi sočutne uporabe zdravila Efgratin.