



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2018. június 29.
EMA/431413/2018
EMA/H/C/004736

A Graspára (L-aszparagináz) vonatkozó forgalombahozatali engedély iránti kérelem visszavonása

2018. június 22-én az Erytech Pharma S.A. hivatalosan értesítette az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottságát (CHMP), hogy vissza kívánja vonni az akut limfoblasztos leukémia (ALL) kezelésére szánt Graspára vonatkozó forgalombahozatali engedély iránti kérelmét.

Milyen típusú gyógyszer a Graspára?

A Graspára egy daganatellenes gyógyszer, amely hatóanyagként vörösvértestekbe zárt L-aszparaginázt tartalmaz. Az aszparaginázt sok éve alkalmazzák a daganatok kezelésére és számos kereskedelmi név alatt forgalmazzák az EU-ban. A Graspára-t vénás infúzióban való alkalmazásra szánták.

Milyen alkalmazásra szánták a Graspára-t?

A Graspára-t egyéb daganatellenes gyógyszerekkel kombinálva ALL-ben szenvedő felnőttek és gyermekek kezelésére szánták, akiknek a betegsége nem függött össze egy bizonyos genetikai változással (úgynevezett „Philadelphia-kromoszóma-negatívak”). Akkor tervezték alkalmazni, amikor az ALL a szokásos kezelés után nem javult, illetve kiújult.

A Graspára-t 2006. október 27-én az ALL tekintetében „ritka betegség elleni gyógyszerre” minősítették. A ritka betegség elleni gyógyszerre minősítésről további információ [itt](#) található.

Hogyan fejti ki hatását a Graspára?

Az aszparagin egy aminosav, amelyet az egészséges sejtek termelnek a szervezetben. Ugyanakkor a limfoblasztos leukémiás sejtek nem képesek előállítani ezt az aminosavat, ezáltal azt a vérből veszik fel, mivel szükségük van rá a gyors növekedéshez. Az L-aszparagináz enzim lebontja a vérben található aszparagint és megfosztja a leukémiás sejteket ettől az aminosavtól, miáltal azok elpusztulnak.



A Graspera-ban található L-aszparagináz vörösvértestekbe zárták, mivel azt várták, hogy ez lehetővé tenné az enzim működését és egyúttal megvédené azt a vérben történő lebomlástól és az antitestektől, amelyek hozzákötődhetnének és leállíthatnák.

Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a kérelem alátámasztására?

A vállalat egy fő vizsgálatból származó adatokat nyújtott be, amelyben a Graspera-t (nem vörösvértestbe zárt) aszparaginázzal hasonlították össze 80, 1-55 éves, Philadelphia-kromoszóma-negatív ALL-ben szenvedő beteg esetében, akiknek a betegsége más kezelésre nem javult vagy kiújult.

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

A kérelmet azt követően vonták vissza, hogy a CHMP már értékelte a vállalat által eredetileg benyújtott dokumentációt, és kidolgozott egy kérdéslistát. A vállalat a visszavonás időpontjában még nem válaszolt a kérdésekre.

Mit tartalmazott a CHMP ajánlása az adott időpontban?

A visszavonás időpontjában az adatok áttekintése alapján a CHMP részéről néhány aggály merült fel, és az volt az ideiglenes véleménye, hogy a Graspera alkalmazása nem engedélyezhető az ALL kezelésére. A CHMP aggályát fejezte ki azzal kapcsolatban, hogy a gyógyszer a klinikai vizsgálatok során alkalmazottól eltérő típusú aszparagináz-tartalmaz, és a benyújtott adatok nem elégségesek annak demonstrálására, hogy a gyógyszer hogyan viselkedik a szervezetben és mennyire hatásos a többi aszparagináz-tartalmú gyógyszerhez képest. Továbbá nem állt rendelkezésre elegendő adat annak bemutatására, hogy a Graspera hatásosságát mennyiben csökkentik az antitestek, valamint mennyire hatásos a kezelés a gyermekek számára, illetve ismételt alkalmazás esetén.

Ezért a visszavonás időpontjában a CHMP meglátása szerint a Graspera előnyei az igazolt hatásosság hiánya miatt nem haladták meg a kockázatokat.

Mivel indokolta a vállalat a kérelem visszavonását?

Az Ügynökséget a kérelem visszavonásáról értesítő levelében a vállalat úgy nyilatkozott, hogy a benyújtott adatok nem elégségesek ahhoz, hogy következtetéseket lehessen levonni a Graspera előnyeire és kockázataira vonatkozóan.

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

Milyen következményekkel jár a visszavonás azokra a betegekre nézve, akik részt vesznek a klinikai vizsgálatokban?

A vállalat tájékoztatta a CHMP-t, hogy a visszavonásnak a Graspera-val végzett klinikai vizsgálatokban jelenleg részt vevő betegekre nézve nincsenek következményei.

Ha Ön ilyen klinikai vizsgálatban vesz részt, és kezelését illetően további információra van szüksége, vegye fel a kapcsolatot kezelőorvosával.