



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

29 czerwca 2018 r.
EMA/431413/2018
EMA/H/C/004736

Wycofanie wniosku o dopuszczenie do obrotu dotyczącego produktu Graspa (L-asparaginaza)

W dniu 22 czerwca 2018 r. firma Erytech Pharma S.A. powiadomiła Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) o zamiarze wycofania wniosku o dopuszczenie do obrotu produktu Graspa, który miał być stosowany w leczeniu ostrej białaczki limfoblastycznej (ALL).

Co to jest Graspa?

Graspa to lek przeciwnowotworowy zawierający substancję czynną L-asparaginaza, która została zamknięta w czerwonych krwinkach. Asparaginaza jest stosowana w leczeniu nowotworów od wielu lat i jest dopuszczona do obrotu w państwach UE pod różnymi nazwami handlowymi. Lek Graspa miał być podawany we wlewie dożylnym (kroplówce).

W jakim celu miał być stosowany produkt Graspa?

Lek Graspa miał być stosowany w skojarzeniu z innymi lekami przeciwnowotworowymi w leczeniu osób dorosłych i dzieci z ALL, która nie jest związana z określoną zmianą genetyczną (określaną jako „brak chromosomu Philadelphia”). Lek miał być stosowany w przypadku gdy ALL nie reaguje na standardowe leczenie lub nastąpił jej nawrót po takim leczeniu.

W dniu 27 października 2006 r. lek Graspa uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach) w leczeniu ALL. Więcej informacji na temat uznania za lek sierocy można znaleźć [tutaj](#).

Jak działa produkt Graspa?

Asparagina jest aminokwasem produkowanym przez zdrowe komórki w organizmie. Komórki białaczki limfoblastycznej nie mogą jednak wytwarzać tego aminokwasu i dlatego pobierają go z krwi, ponieważ jest on im potrzebny do szybkiego wzrostu. Podanie enzymu L-asparaginazy skutkuje niszczeniem asparaginy we krwi i pozbawia komórki białaczki tego aminokwasu, co powoduje ich śmierć.



L-asparaginaza w leku Graspa jest zamknięta w czerwonych krwinkach, ponieważ zgodnie z oczekiwaniami miało to umożliwić działanie enzymu, a jednocześnie jego ochronę przed rozkładem we krwi i przed przeciwciałami, które mogą się do niego przyłączać i uniemożliwiać jego działanie.

Jaką dokumentację przedstawiła firma na poparcie wniosku?

Firma przedstawiła dane z badania głównego, w którym porównywano lek Graspa z asparaginazą (niezamkniętą w czerwonych krwinkach) u 80 pacjentów w wieku od 1 do 55 lat z ALL bez obecności chromosomu Philadelphia, u których choroba nie reagowała na inne leczenie lub nastąpił jej nawrót.

Na jakim etapie znajdowała się ocena w momencie wycofania wniosku?

Wniosek wycofano po przeprowadzeniu przez CHMP oceny dokumentacji wstępnej przedłożonej przez firmę i sformułowaniu listy pytań. Firma wycofała wniosek jeszcze przed udzieleniem odpowiedzi na pytania.

Jakie zalecenia wydał wówczas CHMP?

W momencie wycofania wniosku CHMP zgłosił pewne zastrzeżenia na podstawie przeglądu danych i wstępna opinia wskazywała, że produkt Graspa nie może być zatwierdzony w leczeniu ostrej białaczki limfoblastycznej. CHMP wyraził obawę, że lek zawiera inny rodzaj asparaginazy niż stosowany w badaniach klinicznych oraz że dostarczone dane nie są wystarczające do udowodnienia zachowania leku w organizmie ani skuteczności jego działania w porównaniu z innymi lekami zawierającymi asparaginazę. Ponadto dane były zbyt ograniczone, aby wykazać, jak bardzo skuteczność leku Graspa została obniżona przez przeciwciała ani jak bezpieczne jest jego zastosowanie u dzieci lub w przypadku powtórnych terapii.

Dlatego też w momencie wycofania wniosku zdaniem CHMP, z uwagi na brak dowiedzionej skuteczności, korzyści ze stosowania produktu Graspa nie przewyższały ryzyka.

Jakie przyczyny wycofania wniosku podała firma?

W swoim piśmie powiadamiającym Agencję o wycofaniu wniosku firma oświadczyła, że przedstawione dane były niewystarczające do wyciągnięcia wniosków na temat korzyści i zagrożeń związanych ze stosowaniem leku Graspa.

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

Jakie są skutki wycofania dla pacjentów uczestniczących w badaniach klinicznych?

Firma powiadomiła CHMP, że ma żadnych skutków dla pacjentów obecnie biorących udział w badaniach klinicznych z użyciem produktu Graspa.

W przypadku uczestnictwa w badaniach klinicznych i potrzeby uzyskania dokładniejszych informacji o leczeniu, należy skontaktować się z lekarzem prowadzącym.