



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

14 декември 2012 г.
EMA/20323/2013
EMA/H/C/2259

Въпроси и отговори

Оттегляне на заявлението за разрешаване за употреба на Jenzyl (ридафоролимус)

На 27 ноември 2012 г. Merck Sharp & Dohme Limited официално уведомява Комитета по лекарствените продукти за хуманна употреба (CHMP), че желае да оттегли заявлението си за разрешаване за употреба на Jenzyl, показан за поддържащо лечение на пациенти с метастатичен сарком на меките тъкани или сарком на костите, лекувани преди това с химиотерапия.

Какво представлява Jenzyl?

Jenzyl е лекарство, което съдържа активното вещество ридафоролимус (*ridaforolimus*). Предлага се под формата на 10 mg таблетки.

За какво се очаква да се използва Jenzyl?

Очаква се Jenzyl да се използва за лечение на възрастни със сарком на меките тъкани (вид рак, който засяга меките опорни тъкани на тялото) или сарком на костите (рак на костите), които са метастатични (разпространили са се в други части на тялото).

Очаква се да се използва като поддържаща терапия при пациенти, които вече са лекувани с две или три схеми на химиотерапия.

Jenzyl е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, което се използва при редки болести) на 26 август 2005 г. и на 28 октомври 2005 г. за лечение на сарком на меките тъкани и първични злокачествени тумори на костите.

Как се очаква да действа Jenzyl?

Активното вещество в Jenzyl, ридафоролимус, блокира действието на ензим, наречен „таргетен за рапамицин при бозайниците“ (mTOR), който регулира растежа и деленето на клетките в организма и е с повишена активност при пациенти със сарком. В организма ридафоролимус първо се прикрепва към протеин, наречен FKBP-12, намиращ се във вътрешността на клетките, за да се



създаде „комплекс“. Този комплекс след това блокира mTOR. Тъй като mTOR участва в контрола на клетъчното делене и растежа на кръвоносните съдове, ридафоролimus предотвратява деленето на раковите клетки и намалява кръвоснабдяването им. Очаква се това да забави растежа и пролиферацията на раковите клетки.

Какво е представила фирмата в подкрепа на своето заявление?

Фирмата представя резултатите от едно основно проучване при 711 пациенти с метастатичен сарком на меките тъкани или сарком на костите, които са лекувани с до четири цикъла на една, две или повече алтернативни схеми на химиотерапия. Проучването сравнява Jenzyl с плацебо (сляпо лечение). Основната мярка за ефективност е времето, което пациентите са живели до влошаване на заболяването им.

На какъв етап от оценката е заявлението към момента на оттеглянето?

Заявлението е оттеглено, след като CHMP е оценил документацията, представена от фирмата, и е изготвил списък с въпроси. Към момента на оттеглянето фирмата все още не е отговорила на последната група от въпроси.

Какви са препоръките на CHMP към момента?

Въз основа на прегледа на данните и отговорите на фирмата по списъка с въпроси на CHMP, към момента на оттеглянето CHMP има известни забележки и изразява предварително становище, че Jenzyl не може да бъде одобрен за лечение на пациенти с метастатичен сарком на меките тъкани или сарком на костите като поддържащо лечение.

CHMP се опасява, че приемането на Jenzyl води само до незначително увеличение на времето до влошаване на заболяването на пациентите в сравнение с плацебо (18 спрямо 15 седмици при пациенти, които са лекувани с една или повече предшестващи схеми на химиотерапия, и 16 срещу 10 седмици при пациенти, които са лекувани с две или три предшестващи схеми на химиотерапия). CHMP счита тази полза за умерена, като се вземе предвид, че пациентите обикновено преживяват дълго време след прогресиране на заболяването им. CHMP също така счита, че малко по-големият ефект, наблюдаван при пациенти, лекувани с две или три предшестващи схеми на химиотерапия, в сравнение с тези, които са получили една или повече схеми, може да не отразява истинския размер на ефекта, тъй като причината лекарството да действа по-добре на по-късните етапи на заболяването е неясна. По отношение на безопасността, CHMP е обезпокоен от по-високата честота на нежеланите лекарствени реакции, които смущават доброто физическото състояние на пациента, както и някои рядко, но потенциално животозастрашаващи нежелани лекарствени реакции.

Поради това към момента на оттеглянето становището на CHMP е, че ползите от Jenzyl не превишават рисковете.

Какви причини посочва фирмата за оттегляне на заявлението?

В своето писмо, с което уведомява Агенцията за оттеглянето на заявлението, фирмата заявява, че е решила да оттегли заявлението, тъй като CHMP счита, че предоставените данни не позволяват на Комитета да даде заключение за положително съотношение полза/риск.

Писмото за оттеглянето е достъпно [тук](#).

Comment [NM1]: PTL to link withdrawal letter with filename H-XXX-WL.

Какви са последствията от оттеглянето за пациентите, участващи в клинични изпитвания?

Фирмата уведомява CHMP, че няма последствия за пациентите, включени понастоящем в клинични изпитвания с JenzyI.

Ако участвате в клинично изпитване и се нуждаете от повече информация за Вашето лечение, свържете се с лекаря, който Ви го е предписал.

Резюме на становището на Комитета по лекарствата сираци за JenzyI може да се намери на уебсайта на Агенцията: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation) ([сарком на меките тъкани](#) и [първични злокачествени тумори на костите](#)).