



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

24 юни 2016 г.
EMA/430531/2016
EMA/H/C/003846

Въпроси и отговори

Оттегляне на заявлението за разрешаване за употреба на Kyndrisa (drisapersen)

На 31 май 2016 г. BioMarin International Limited официално уведомява Комитета по лекарствените продукти за хуманна употреба (CHMP), че желае да оттегли заявлението си за разрешаване за употреба на Kyndrisa, показан за лечение на мускулна дистрофия тип Дюшен.

Какво представлява Kyndrisa?

Kyndrisa е лекарство, което съдържа активното вещество дрисаперсен (*drisapersen*). Трябвало е да се предлага под формата на инжекционен разтвор за подкожно прилагане.

За какво се очаква да се използва Kyndrisa?

Очаква се Kyndrisa да се използва за лечение на мускулна дистрофия тип Дюшен при пациенти на възраст 5 или повече години, които могат да ходят и чието заболяване се дължи на определени генетични мутации (дефекти), които могат да се лекуват с „технологията на пропускане на екзон 51“. Мускулната дистрофия тип Дюшен е сериозно генетично заболяване, което засяга предимно момчета и обикновено се диагностицира преди навършване на 6-годишна възраст. Причинява прогресивна слабост и загуба на мускулна функция и обикновено води до смърт в юношеска или млада възраст.

Kyndrisa е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, което се използва при редки болести) на 27 февруари 2009 г. за мускулна дистрофия тип Дюшен. Допълнителна информация за определянето на лекарството сирак може да намерите [тук](#).

Как се очаква да действа Kyndrisa?

Мускулната дистрофия тип Дюшен се причинява от мутации в гена за протеина дистрофин, които водят до производство на нефункционален дистрофин. Това лекарство действа чрез



„технологията за пропускане на екзон 51“. Тази технология дава възможност на произвеждащия протеини апарат на клетките да пропусне (прескочи) някои области от гена на дистрофина и позволява да се произведе скъсен, но частично функциониращ дистрофинов протеин.

Какво е представила фирмата в подкрепа на своето заявление?

Kyndrisa е изследвана в три проучвания при общо 290 пациенти с мускулна дистрофия тип Дюшен. Тези проучвания сравняват ефектите на Kyndrisa с плацебо (несъдържащо активно вещество лекарство) и основната мярка за ефективност е промяната в разстоянието, които пациентът може да измине за шест минути, след 24 или 48 седмици от лечението.

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. След като CHMP е оценил отговорите на фирмата на последната група въпроси, все още остават някои неразрешени проблеми.

Какви са препоръките на CHMP към момента?

Въз основа на прегледа на данните и отговорите на фирмата по списъците с въпроси на CHMP, към момента на оттеглянето CHMP има известни забележки и изразява предварително становище, че Kyndrisa не може да бъде одобрен за лечение на мускулна дистрофия тип Дюшен.

Становището на Комитета е, че данните от клиничните проучвания не демонстрират в достатъчна степен полезен ефект от Kyndrisa: основното проучване не показва никаква полза при пациентите с това състояние, а останалите две проучвания не успяват последователно да покажат полезен ефект. В допълнение, профилът на безопасност на това лекарство не е приет за задоволителен, в частност поради риска от персистиращи реакции на мястото на инжектиране (напр. подуване, възпаление и улцерации), което може да се отрази негативно върху качеството на живот, а също и риска от тромбозитопения (намален брой на тромбоцитите в кръвта), който може да изложи пациентите на риск от сериозни кръвоизливни усложнения. В допълнение, Комитетът поставя под въпрос предложените методи за стерилизиране на лекарството.

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

Какви причини посочва фирмата за оттегляне на заявлението?

В писмото, с което се уведомява Агенцията за оттеглянето на заявлението, фирмата посочва, че няма да е в състояние да отговори на забележките на CHMP относно резултатите от клиничните проучвания в очаквания срок от време.

Писмото за оттеглянето може да се намери [тук](#).

Какви са последствията от оттеглянето за пациентите, участващи в клинични изпитвания или програми с милосърдна цел?

Фирмата твърди, че има намерение да спре разработването на това лекарство, но планира да работи съвместно с лекари, пациенти и местни регулаторни власти, за да даде възможност на лекуваните се в момента пациенти да имат достъп до останалите в наличност количества от Kyndrisa.

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