



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

24. června 2016  
EMA/430531/2016  
EMA/H/C/003846

## Otázky a odpovědi

---

# Stažení žádosti o vydání rozhodnutí o registraci přípravku Kyndrisa (drisapersen)

Dne 31. května 2016 společnost BioMarin International Limited oficiálně oznámila Výboru pro humánní léčivé přípravky (CHMP), že se rozhodla stáhnout svou žádost o vydání rozhodnutí o registraci přípravku Kyndrisa určeného k léčbě Duchennovy svalové dystrofie.

## Co je Kyndrisa?

Kyndrisa je léčivý přípravek, který obsahuje léčivou látku drisapersen. K dispozici měl být ve formě injekčního roztoku pro podkožní podání.

## K čemu měl být přípravek Kyndrisa používán?

Přípravek Kyndrisa měl být používán k léčbě Duchennovy svalové dystrofie u pacientů ve věku 5 let a starších, kteří jsou schopni chůze a jejichž onemocnění vzniklo v důsledku určitých genetických mutací (defektů), které lze léčit „technologíí přeskočení exonu 51“. Duchennova svalová dystrofie je závažné genetické onemocnění, které postihuje především chlapce a které je obvykle diagnostikováno před 6. rokem věku. Způsobuje progresivní slabost a ztrátu svalové funkce a obvykle vede k úmrtí v období dospívání nebo rané dospělosti.

Přípravek Kyndrisa byl označen jako léčivý přípravek pro vzácná onemocnění dne 27. února 2009. Přípravek měl být určen k léčbě Duchennovy svalové dystrofie. Další informace o léčivých přípravcích pro vzácná onemocnění naleznete [zde](#).

## Jak by měl přípravek Kyndrisa působit?

Duchennova svalová dystrofie je způsobena mutacemi v genu pro protein dystrofin, které vedou k tvorbě nefunkčního dystrofinu. Tento léčivý přípravek působí prostřednictvím „technologíí přeskočení



exonu 51". Tato technologie umožňuje mechanismu na vytváření proteinů v buňkách přeskočit některé oblasti genu pro dystrofin a vytvářet zkrácený, přesto však částečně funkční protein dystrofinu.

## **Jakou dokumentaci předložila společnost na podporu své žádosti?**

Přípravek Kyndrisa byl zkoumán ve třech studiích u celkem 290 pacientů s Duchennovou svalovou dystrofií. Studie porovnávaly účinky přípravku Kyndrisa s placebem (neúčinným přípravkem), přičemž hlavním měřítkem účinnosti byla změna vzdálenosti, kterou pacient ušel za šest minut po 24 a 48 týdnech léčby.

## **V jaké fázi bylo posuzování žádosti v době, kdy byla stažena?**

Žádost byla stažena poté, co výbor CHMP posoudil dokumentaci předloženou společností a vypracoval seznamy otázek. Výbor CHMP vyhodnotil odpovědi společnosti na poslední sadu otázek, některé důležité body však zůstaly nedořešené.

## **Jaké bylo doporučení výboru CHMP v dané době?**

Na základě vyhodnocení dostupných údajů a odpovědí společnosti na seznamy otázek výboru CHMP měl výbor CHMP v době stažení žádosti určité pochybnosti a jeho prozatímní stanovisko bylo, že přípravek Kyndrisa nemůže být schválen k léčbě Duchennovy svalové dystrofie.

Výbor usoudil, že údaje z klinických studií dostatečně neprokázaly příznivý účinek přípravku Kyndrisa: hlavní studie neprokázala žádný přínos u pacientů s onemocněním a další dvě studie neprokázaly konzistentní příznivý účinek přípravku. Rovněž bezpečnostní profil léčivého přípravku Kyndrisa nebyl považován za uspokojivý, zejména kvůli riziku přetrvávajících reakcí v místě vpichu (jako je otok, zánět nebo ulcerace), které by mohly mít nepříznivý vliv na kvalitu života, a dále kvůli riziku trombocytopenie (nízký počet krevních destiček), která by mohla pacientům způsobit závažné krvácivé komplikace. Výbor dále zpochybnil navrhovanou metodu sterilizace léčivého přípravku.

Výbor CHMP proto v době stažení žádosti zastával názor, že přínosy přípravku Kyndrisa nepřevyšují jeho rizika.

## **Jaké důvody stažení žádosti uvedla společnost?**

Společnost v dopise, v němž uvědomuje agenturu o svém rozhodnutí stáhnout žádost, uvedla, že není schopna v očekávaném časovém rámci reagovat na obavy výboru CHMP týkající se výsledků klinických studií.

Tento dopis je k dispozici [zde](#).

## **Jaké jsou důsledky stažení žádosti pro pacienty zařazené do klinických studií nebo do programů, v nichž je přípravek Kyndrisa podáván v rámci léčby z humanitních důvodů (na základě principu tzv. compassionate use)?**

Společnost uvedla, že má v úmyslu zastavit vývoj léčivého přípravku, nicméně má v plánu spolupracovat s lékaři, pacienty a místními regulačními orgány, aby umožnily pacientům, kteří jsou přípravkem léčeni v současné době, přístup ke zbývajícím zásobám přípravku Kyndrisa.

Pokud jste zařazení do klinické studie a potřebujete získat více informací o své léčbě, kontaktujte lékaře, který vám přípravek podává.