



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

24 de junio de 2016
EMA/430531/2016
EMA/H/C/003846

Preguntas y respuestas

Retirada de la solicitud de autorización de comercialización de Kyndrisa (drisapersen)

El 31 de mayo de 2016, BioMarin International Limited notificó oficialmente al Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) que deseaba retirar su solicitud de autorización de comercialización del medicamento Kyndrisa para el tratamiento de la distrofia muscular de Duchenne.

¿Qué es Kyndrisa?

Kyndrisa es un medicamento que contiene el principio activo drisapersen. Iba a presentarse como solución inyectable subcutánea.

¿A qué uso estaba destinado Kyndrisa?

Kyndrisa estaba destinado a utilizarse para el tratamiento de la distrofia muscular de Duchenne en pacientes de 5 años o más que pueden caminar y cuya enfermedad se debe a determinadas mutaciones genéticas (defectos) que se pueden tratar con la «tecnología de salto de exón 51». La distrofia muscular de Duchenne es una enfermedad genética grave, que afecta principalmente a los niños y se suele diagnosticar antes de los 6 años. Provoca debilidad progresiva y pérdida de la función muscular y, normalmente, causa la muerte en la adolescencia o al comienzo de la edad adulta.

Kyndrisa fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 27 de febrero de 2009 para la distrofia muscular de Duchenne. Puede encontrarse más información sobre la designación de medicamento huérfano [aquí](#).

¿Cómo estaba previsto que actuase Kyndrisa?

La distrofia muscular de Duchenne se debe a las mutaciones del gen de la proteína distrofina, que da lugar a la producción de una distrofina no funcional. Este medicamento actúa mediante la «tecnología de salto de exón 51». Esta tecnología permite que la maquinaria de síntesis de las proteínas en las



células se salte algunas áreas del gen de la distrofina y permita la producción de una proteína distrofina acortada pero con funcionalidad parcial.

¿Qué documentación presentó la empresa en apoyo de su solicitud?

Kyndrisa se investigó en tres estudios en un total de 290 pacientes con distrofia muscular de Duchenne. Estos estudios compararon los efectos de Kyndrisa con un placebo (un tratamiento simulado) y la medición principal de eficacia fue el cambio de la distancia que podía caminar el paciente en seis minutos después de 24 o 48 semanas de tratamiento.

¿En qué fase se encontraba la evaluación de la solicitud cuando fue retirada?

La solicitud fue retirada después de que el CHMP hubiera evaluado la documentación presentada por la empresa y formulado una lista de preguntas. Una vez que el CHMP hubo evaluado las respuestas de la empresa a la última serie de preguntas, aún quedaban algunas cuestiones pendientes.

¿Qué recomendaba el CHMP en ese momento?

Estudiada la documentación y las respuestas de la empresa a las listas de preguntas del CHMP, en el momento de la retirada el CHMP tenía reservas y, provisionalmente, consideraba que Kyndrisa no hubiera podido aprobarse para el tratamiento de la distrofia muscular de Duchenne.

El Comité consideró que los datos de los estudios clínicos no demostraban lo suficiente un efecto beneficioso de Kyndrisa: el estudio principal no mostró un beneficio en pacientes con la enfermedad, mientras que otros dos estudios no mostraron un efecto beneficioso de forma coherente. Además, el perfil de seguridad del medicamento no se consideró satisfactorio, especialmente por el riesgo de las continuas reacciones en el lugar de inyección (como hichazón, inflamación y úlcera) que podría dar lugar a un impacto negativo en la calidad de vida, y el riesgo de trombocitopenia (recuento bajo de plaquetas en sangre) que podría poner los pacientes en riesgo de complicaciones graves por hemorragia. Asimismo, el Comité cuestionó el método propuesto de esterilización del medicamento.

Por consiguiente, en el momento de la retirada, el CHMP estimaba que los beneficios de Kyndrisa no superaban a los riesgos.

¿Cuáles fueron las razones aducidas por la empresa para retirar su solicitud?

En el escrito en el que se comunicaba a la Agencia la retirada de la solicitud, la empresa indicaba que no podría tratar los problemas del CHMP en relación a los resultados de los estudios clínicos en el plazo esperado.

El escrito de retirada puede encontrarse [aquí](#)

¿Qué consecuencias tiene esta retirada para los pacientes que participan en los ensayos clínicos o programas de uso compasivo?

La empresa afirmó que pretendía detener el desarrollo del medicamento, pero que planea trabajar con doctores, pacientes y autoridades reguladoras locales para permitir que los pacientes que reciben tratamiento en este momento puedan acceder al suministro restante de Kyndrisa.

Si participa usted en un ensayo clínico y precisa información adicional acerca de su tratamiento, póngase en contacto con el médico que le administra el medicamento.