



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Teabedokument

Müügiloa taotluse tagasivõtmise teave: Kyndrisa (drisaperseen)

BioMarin International Limited teatas 31. mail 2016 ametlikult inimravimite komiteele oma soovist võtta tagasi Kyndrisa müügiloa taotlus. Ravim oli näidustatud Duchenne'i lihaskõõluse raviks.

Mis on Kyndrisa?

Kyndrisa on ravim, mis sisaldab toimeainena drisaperseeni. Seda kavatakse turustada subkutaanse süstelahusena.

Milleks kavatakse Kyndrisat kasutada?

Kyndrisat kavatakse kasutada Duchenne'i lihaskõõluse raviks 5-aastastel ja vanematel kõndimisvõimelistel patsientidel, kelle haiguse põhjuseks on teatud geneetilised mutatsioonid (defektid), mida saab ravida nn eksoni 51 vahelejätmise tehnoloogiaga. Duchenne'i lihaskõõluse on raske geneetiline haigus, mis esineb peamiselt poistel ja mida tavaliselt diagnoositakse enne 6. eluaastat. See põhjustab progresseeruvat lihaskõõluse ja lihaskõõluse kadu ning lõpeb tavaliselt surmaga teismeeas või varases täiskasvanueas.

Kyndrisa nimetati 27. veebruaril 2009 Duchenne'i lihaskõõluse harvkravimiks (ravim, mida kasutatakse harvaesinevate haiguste korral). Lisateave harvkravimiks nimetamise kohta on [siin](#).

Milline on Kyndrisa eeldatav toime?

Duchenne'i lihaskõõluse põhjustab düstrofiinvalku tootva geeni mutatsioon, mis põhjustab mittetoimiva düstrofiini tootmist. See ravim põhineb nn eksoni 51 vahelejätmise tehnoloogial. See tehnoloogia võimaldab rakkude valke tootval süsteemil jätta mõned piirkonnad düstrofiini tootvas geenis vahele ja toota lühemat, kuid osaliselt toimivat düstrofiinvalku.



Millised dokumendid esitas ettevõtte oma taotluse toetuseks?

Kyndrisat uuriti kolmes uuringus kokku 290 Duchenne'i lihasdüstroofiaga patsiendil. Uuringutes võrreldi Kyndrisa toimet platseeboga (näiv ravim) ja efektiivsuse põhinäitajaks oli muutus vahemaas, mida patsient suutis 6 minutiga kõndides läbida pärast 24- või 48-nädalast ravi.

Mis järgus oli müügiloo taotluse hindamine, kui see tagasi võeti?

Taotlus võeti tagasi, kui inimravimite komitee oli hinnanud ettevõtte esitatud dokumente ja koostanud ettevõttele vastamiseks küsimused. Inimravimite komitee oli ettevõttele esitatud viimaste küsimuste vastused läbi vaadanud, kuid mõni küsimus oli veel lahendamata.

Milline oli sel ajal inimravimite komitee soovitus?

Tuginedes esitatud andmete analüüsile ja ettevõtte vastustele inimravimite komitee esitatud küsimustele, nägi komitee taotluse tagasivõtmise ajal põhjust ettevaatlikkuseks ja oli esialgsel seisukohal, et ravimi Kyndrisa kasutamist Duchenne'i lihasdüstroofia raviks ei ole võimalik heaks kiita.

Komitee leidis, et kliiniliste uuringute andmed ei näita piisavalt Kyndrisa kasulikku toimet: põhiuuring ei näidanud mingit kasu selle seisundiga patsientidel ja kaks teist uuringut ei näidanud järjepidevat kasulikku toimet. Lisaks ei peetud rahuldavaks ravimi ohutusprofiili, eriti püsivate süstekoha reaktsioonide tõttu (näiteks turse, põletik ja haavandumine), mis võivad mõjutada negatiivselt elukvaliteeti ja põhjustada trombotsütopeeniat riski (väike trombotsüütide sisaldus), mis võib tekitada patsientidel raske verejooksuga tüsistuse. Komitee ei pidanud ka ravimi kavandatud steriliseerimisviisi efektiivseks.

Seetõttu oli inimravimite komitee müügiloo taotluse tagasivõtmise ajal arvamisel, et ravimi Kyndrisa kasulikkus ei ole suurem kui sellega kaasnevad riskid.

Mis põhjustel võttis ettevõtte taotluse tagasi?

Ettevõtte kirjas, milles ta teatab Euroopa Ravimiametile oma taotluse tagasivõtmisest, märkis ettevõtte põhjuseks, et tal ei ole võimalik taotluse menetlemise tähtajaks esitada inimravimite komitee nõutud andmeid.

Taotluse tagasivõtmise kiri on [siin](#).

Kuidas mõjutab tagasivõtmine praegu kliinilistes uuringutes või eriloaga kasutamise programmides osalevaid patsiente?

Ettevõtte teatas, et ravimi arendamine peatatakse, kuid ettevõtte teeb koostööd arstide, patsientide ja kohalike regulatiivasutustega, et võimaldada praegu ravitud patsientidele ligipääs olemasolevale Kyndrisa varule.

Kui osalete ravimi kliinilises uuringus ja vajate oma ravi kohta lisateavet, pöörduge palun arsti poole, kes teile ravi määrab.