



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Kérdések és válaszok

A Kyndrisa-ra (drisapersen) vonatkozó forgalomba hozatali engedély iránti kérelem visszavonása

2016. május 31-én a BioMarin International Limited hivatalosan értesítette az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottságát (CHMP), hogy vissza kívánja vonni a Duchenne-féle muszkuális disztrófia kezelésére szánt Kyndrisa-ra vonatkozó forgalomba hozatali engedély iránti kérelmét.

Milyen típusú gyógyszer a Kyndrisa?

A Kyndrisa egy drisapersen nevű hatóanyagot tartalmazó gyógyszer. Bőr alá beadandó oldatos injekció formájában lett volna elérhető.

Milyen alkalmazásra szánták a Kyndrisa-t?

A Kyndrisa-t a Duchenne-féle muszkuális disztrófia kezelésére szánták azoknál az 5 éves vagy idősebb betegeknél, akik járóképesek, és akiknek a betegségét bizonyos genetikai mutációk (hibák) okozzák, amelyek az „exon 51 skipping technológia” segítségével kezelhetők. A Duchenne-féle muszkuális disztrófia egy súlyos genetikai betegség, amely főként a fiúkat érinti és általában 6 éves kor előtt diagnosztizálják. Progresszív gyengeséget és az izomfunkció elvesztését okozza, és általában serdülőkorban vagy fiatal felnőttkorban halálhoz vezet.

A Kyndrisa-t 2009. február 27-én a Duchenne-féle muszkuális disztrófia vonatkozásában „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették. A ritka betegség elleni gyógyszerkénti minősítésről további információ [itt](#) található.

Milyen hatásmechanizmust vártak a Kyndrisa-tól?

A Duchenne-féle muszkuális disztrófiát a disztrófin nevű fehérjét kódoló gén mutációi okozzák, amelyek egy nem működő disztrófin eredményeznek. Ez a gyógyszer az „exon 51 skipping technológia” révén fejti ki hatását. Ez a technológia képessé teszi a sejtekben a fehérjetermelő



rendszer arra, hogy átugorja a disztrofin gén egyes területeit, és lehetővé teszi egy rövidebb, de részlegesen működő disztrofin fehérje előállítását.

Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a kérelem alátámasztására?

A Kyndrisa-t három fő vizsgálatban tanulmányozták, összesen 290, Duchenne-féle muszkuláris disztrófiában szenvedő beteg részvételével. A vizsgálatokban a Kyndrisa hatását placebóval (hatóanyag nélküli kezelés) hasonlították össze, és a fő hatékonysági mutató 24 vagy 48 hetes kezelést követően annak a távolságnak a változása volt, amelyet a betegek 6 perc alatt képesek voltak megtenni.

A visszavonás előtt meddig jutott el a kérelem az elbírálási folyamatban?

A kérelmet azután vonták vissza, miután a CHMP már értékelte a vállalat által benyújtott dokumentációt, és kidolgozta a kérdéslistákat. Azt követően, hogy a CHMP értékelte a vállalatnak az utolsó kérdéssorra adott válaszait, még mindig maradt néhány fontos, megoldatlan kérdés.

Mit tartalmazott a CHMP ajánlása az adott időpontban?

A visszavonás időpontjában az adatok és a vállalat által a CHMP listáin szereplő kérdésekre adott válaszok áttekintése alapján a CHMP részéről néhány aggály merült fel, és az volt az ideiglenes véleménye, hogy a Kyndrisa alkalmazása nem engedélyezhető a Duchenne-féle muszkuláris disztrófia kezelésére.

A bizottság úgy vélte, hogy a klinikai vizsgálatokból származó adatok nem igazolták kellőképpen a Kyndrisa előnyös hatását: a fő vizsgálat nem mutatott előnyös hatást a betegségben szenvedő betegek esetében, míg a két másik vizsgálatban nem sikerült következetesen kimutatni az előnyös hatást. Továbbá a gyógyszer biztonságossági profilját nem tartották kielégítőnek, különösen az injekció beadási helyén jelentkező, tartós reakciók (például duzzanat, gyulladás és kifeléelyesedés) kockázata miatt, amelyeknek negatív hatása lenne az életminőségre, valamint a trombocitopénia (alacsony vérlemezke-szám) kockázata miatt, amely súlyos vérzéses szövődmények veszélyének tehetné ki a betegeket. Ezenfelül a bizottság megkérdőjelezte a gyógyszer javasolt sterilizációs módszerét.

Ezért a visszavonás időpontjában a CHMP meglátása szerint a Kyndrisa előnyei nem haladták meg a kockázatokat.

Mivel indokolta a vállalat a kérelem visszavonását?

Az Ügynökséget a kérelem visszavonásáról értesítő levelében a vállalat azt nyilatkozta, hogy nem lenne képes a CHMP-nek a klinikai vizsgálatok eredményeivel kapcsolatos aggályainak kezelésére a várt határidőn belül.

A visszavonásról szóló levél [itt](#) található.

Milyen következményekkel jár a visszavonás azokra a betegekre nézve, akik részt vettek a klinikai vizsgálatokban vagy az engedélyezés előtti kezelési programokban?

A vállalat azt nyilatkozta, hogy le kívánja állítani a gyógyszer fejlesztését, azonban azt tervezi, hogy együttműködik az orvosokkal, betegekkal és helyi szabályozó hatóságokkal, hogy lehetővé tegye a jelenleg kezelt betegek számára, hogy hozzáférjenek a Kyndrisa megmaradt készletéhez.

Ha Ön ilyen klinikai vizsgálatban vesz részt, és kezelését illetően további információra van szüksége, vegye fel a kapcsolatot kezelőorvosával!