



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2016 m. birželio 24 d.
EMA/430531/2016
EMA/H/C/003846

Klausimai ir atsakymai

Paraiškos gauti Kyndrisa (drisapersen) registracijos pažymėjimą atsiėmimas

2016 m. gegužės 31 d. bendrovė „BioMarin International Limited“ oficialiai pranešė Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komitetui (CHMP) apie savo pageidavimą atsiimti paraišką gauti vaisto Kyndrisa, skirto Diušeno (*Duchenne*) raumenų distrofijos gydymui, registracijos pažymėjimą.

Kas yra Kyndrisa?

Kyndrisa – tai vaistas, kurio sudėtyje yra veikliosios medžiagos drisaperseno. Jį buvo numatyta tiekti po oda švirkščiamo tirpalo forma.

Kokiais atvejais buvo numatyta vartoti Kyndrisa?

Kyndrisa buvo numatyta gydyti 5 metų ir vyresnius Diušeno raumenų distrofija sergančius pacientus, kurių genetinę ligą sukėlė tam tikros geninės mutacijos (defektai), kurias galima gydyti taikant vadinamąją 51 egzono praleidimo technologiją (angl. *exon 51 skipping technology*). Diušeno raumenų distrofija yra sunki geninė liga, kuria serga daugiausia berniukai ir kuri paprastai diagnozuojama iki 6 metų amžiaus. Ji sukelia progresuojantį raumenų funkcijos silpnumą ir jos praradimą ir paprastai baigiasi mirtimi paauglystėje arba ankstyvame brandos laikotarpyje.

Pagal Diušeno raumenų distrofijos indikaciją Kyndrisa 2009 m. vasario 27 d. buvo priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai. Daugiau informacijos apie vaistų priskyrimą retųjų vaistų kategorijai rasite [čia](#).

Kokio tikimasi Kyndrisa veikimo?

Diušeno raumenų distrofiją sukelia baltymo distrofino geno mutacija, dėl kurios paciento organizmas pradeda gaminti nefunkcionuojantį distrofiną. Šis vaistas veikia 51 egzono praleidimo technologijos



principu. Ši technologija suteikia galimybę ląstelėse esančiai baltymus gaminančiai struktūrai praleisti tam tikras distrofino geno sritis ir gaminti trumpesnę, bet iš dalies veikiančią distrofino baltymą.

Kokius dokumentus bendrovė pateikė kartu su paraiška?

Kyndrisa buvo tiriamas atliekant tris pagrindinius tyrimus, kuriuose dalyvavo iš viso 290 Diušeno raumenų distrofija sergančių pacientų. Atliekant šiuos tyrimus, Kyndrisa poveikis buvo lyginamas su placebo (netikro vaisto) poveikiu, o pagrindinis veiksmingumo rodiklis, buvo atstumo, kurį pacientas galėjo nueiti per šešias minutes po 24 arba 48 gydymo savaitių, pokytis.

Kuriuo paraiškos nagrinėjimo etapu paraiška atsiimta?

Paraiška atsiimta, kai CHMP jau buvo įvertinęs bendrovės pateiktus dokumentus ir parengęs klausimų sąrašus. CHMP įvertinus bendrovės atsakymus į paskutinį kartą pateiktus klausimus, vis dar buvo likę svarbių neišspręstų klausimų.

Kokia tuo metu buvo CHMP rekomendacija?

Remdamasis peržiūretais duomenimis ir bendrovės atsakymais į CHMP parengtus klausimus, paraiškos atsiėmimo metu CHMP dar turėjo abejonių ir buvo priėmęs negalutinę nuomonę, kad Kyndrisa negali būti registruotas Diušeno raumenų distrofijos gydymui.

Komitetas laikėsi nuomonės, kad klinikinių tyrimų duomenų nepakanka Kyndrisa naudingam poveikiui įrodyti: pagrindinis tyrimas neparodė jokios naudos šia liga sergantiems pacientams, o atliekant kitus du tyrimus surinkti naudingą poveikį patvirtinantys duomenys buvo nenuoseklūs. Be to, nuspręsta, kad vaisto saugumo charakteristikos neatitinka reikalavimų, ypač dėl nepraeinančių reakcijų (kaip antai patinimo, uždegimo ir išopėjimo) injekcijos vietoje rizikos, nes tai gali turėti neigiamą poveikį gyvenimo kokybei, ir trombocitopenijos (sumažėjusio trombocitų skaičiaus kraujyje) rizikos, nes tai gali kelti rimtų kraujavimo komplikacijų pavojų. Be to, komitetas suabejojo dėl pasiūlyto vaisto sterilizavimo metodo.

Todėl paraiškos atsiėmimo metu CHMP laikėsi nuomonės, kad Kyndrisa teikiama nauda nėra didesnė už jo keliamą riziką.

Kokias paraiškos atsiėmimo priežastis nurodė bendrovė?

Laiške, kuriuo agentūrai pranešta apie paraiškos atsiėmimą, bendrovė nurodė, kad ji negalės per numatytą terminą išspręsti CHMP nerimą sukėlusius klausimus, susijusius su klinikinių tyrimų rezultatais.

Laišką dėl paraiškos atsiėmimo galima rasti [čia](#).

Kokių pasekmių paraiškos atsiėmimas turės pacientams, dalyvaujantiems klinikiniuose tyrimuose arba labdaringo vartojimo programose?

Bendrovė nurodė ketinanti nutraukti vaisto kūrimo procesą, bet planuojanti bendradarbiauti su gydytojais, pacientais ir vietos reguliavimo institucijoms, kad būtų sudaryta galimybė šiuo metu gydomiems pacientams pasinaudoti likusiomis Kyndrisa atsargomis.

Jei dalyvaujate klinikiniame tyrime ir pageidaujate gauti daugiau informacijos apie Jums taikomą gydymą, kreipkitės į Jus gydantį gydytoją.