



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

24 ta' Ġunju 2016
EMA/430531/2016
EMA/H/C/003846

Mistoqsijiet u tweġibiet

L-irtirar tal-applikazzjoni għall-awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq għal Kyndrisa (drisapersen)

Fil-31 ta' Mejju 2016, BioMarin International Limited għarrfet uffiċjalment lill-Kumitat għall-Prodotti Mediċinali għall-Użu mill-Bniedem (CHMP) li tixtieq tirtira l-applikazzjoni tagħha għall-awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq għal Kyndrisa, għall-kura tad-distrofija muskolari ta' Duchenne.

X'inhu Kyndrisa?

Kyndrisa huwa mediċina li fiha s-sustanza attiva drisapersen. Kien se jiġi bħala soluzzjoni għall-injezzjoni taħt il-ġilda.

Għal xiex kien mistenni li jintuża Kyndrisa?

Kyndrisa kien mistenni li jintuża għall-kura tad-distrofija muskolari ta' Duchenne f'pazjenti li għandhom 5 snin u aktar li jistgħu jimxu u li l-marda tagħhom hija minħabba ċerti mutazzjonijiet (difetti) ġenetiċi li jistgħu jiġu kkurati b'teknoloġija li taqbeż exon 51'. Id-distrofija muskolari ta' Duchenne hija marda ġenetika serja, li prinċiparjament taffettwa lis-subien u ġeneralment issir dijanjozi tagħha qabel l-età ta' 6 snin. Din tikkawża dgħufija progressiva u telf tal-funzjoni tal-muskoli, u ġeneralment twassal għall-mewt fl-adolessenza jew kmieni fil-ħajja adulta.

Kyndrisa kien ikklassifikat bħala 'mediċina orfni' (mediċina li tintuża f'mard rari) fis-27 ta' Frar 2009 għad-distrofija muskolari ta' Duchenne. Aktar tagħrif dwar il-klassifikazzjoni orfni jista' jinstab [hawnhekk](#).

Kif huwa mistenni li jaħdem Kyndrisa?

Id-distrofija muskolari ta' Duchenne hija kkawżata minn mutazzjonijiet fil-gene tal-proteina distrofin, li twassal għall-produzzjoni ta' distrofin mhux funzjonali. Din il-mediċina taħdem permezz ta' 'teknoloġija li taqbeż exon 51'. Din it-teknoloġija tippermetti lill-apparat li jagħmel il-proteina fiċ-ċelloli sabiex



jaqbeż xi partijiet tal-gene distrofin u tippermetti l-produzzjoni tal-proteina distrofin imqassra iżda li taħdem parzjalment.

X'dokumentazzjoni pprezentat il-kumpanija biex tappoġġa l-applikazzjoni tagħha?

Kyndrisa ġie investigat fi tliet studji f'total ta' 290 pazjent bid-distrofija muskolari ta' Duchenne. L-istudji qabblu l-effetti ta' Kyndrisa mal-plaċebo (kura finta) u l-kejl ewlieni tal-effikaċja kien il-bidla fid-distanza li l-pazjent seta' jimxi f'sitt minuti wara 24 jew 48 ġimgħa ta' kura.

Sa fejn kienet waslet l-evalwazzjoni tal-applikazzjoni qabel ma din ġiet irtirata?

L-applikazzjoni ġiet irtirata wara li s-CHMP kien evalwa d-dokumentazzjoni pprovvduta mill-kumpanija u fformula listi ta' mistoqsijiet. Wara li s-CHMP kien ivvaluta t-tweġibiet tal-kumpanija għall-aħħar sensiela ta' mistoqsijiet, kien għad hemm xi kwistjonijiet importanti mhux riżolti.

X'kienet ir-rakkomandazzjoni tas-CHMP dak iż-żmien?

Fuq il-bażi tar-rieżami tad-data u t-tweġiba tal-kumpanija għal-listi ta' mistoqsijiet tas-CHMP, fiż-żmien tal-irtirar, is-CHMP kellu xi tħassib u kien tal-fehma provviżorja li Kyndrisa ma setax jiġi approvat għall-kura tad-distrofija muskolari ta' Duchenne.

Il-Kumitat ikkunsidra li d-data mill-istudji kliniċi ma wrietx biżżejjed effett ta' benefiċċju ta' Kyndrisa: l-istudju ewlieni ma wera l-ebda benefiċċju f'pazjenti bil-kundizzjoni, filwaqt li żewġ studji oħrajn naqsu milli juru effett ta' benefiċċju b'mod konsistenti. Barra minn hekk, il-profil tas-sigurtà tal-medicina ma kienx meqjus sodisfacenti, b'mod partikolari minħabba r-riskju ta' reazzjonijiet persistenti fis-sit tal-injezzjoni (bħal neffa, infjammazzjoni u ulċerazzjoni) li jista' jkollhom effett negattiv fuq il-kwalità tal-ħajja, u r-riskju ta' tromboċitopenija (għadd baxx ta' pjastrini fid-demm) li tista' tpoġġi lill-pazjenti f'riskju ta' kumplikazzjonijiet serji ta' fsada. Barra minn hekk, il-Kumitat ma kienx żgur mill-metodu propost ta' sterilizzazzjoni tal-medicina.

Għalhekk, fiż-żmien tal-irtirar, is-CHMP kien tal-fehma li l-benefiċċji ta' Kyndrisa ma kinux akbar mir-riskji tiegħu.

X'kienu r-raġunijiet mogħtija mill-kumpanija għall-irtirar tal-applikazzjoni?

Fl-ittra tagħha ta' tagħrif lill-Aġenzija dwar l-irtirar tal-applikazzjoni, il-kumpanija stqarret li mhux ser tkun kapaċi tindirizza t-tħassib tas-CHMP rigward ir-riżultati tal-istudji kliniċi fi hdan il-perjodu ta' żmien mistenni.

L-ittra tal-irtirar tista' tinstab [hawnhekk](#)

X'inhuma l-konsegwenzi ta' dan l-irtirar għall-pazjenti fi provi kliniċi jew fi programmi ta' użu b'kompazzjoni?

Il-kumpanija stqarret li kellha l-intenzjoni li twaqqaf l-iżvilupp tal-medicina, iżda tippjana li taħdem mat-tobba, mal-pazjenti u mal-awtoritajiet regolatorji lokali sabiex tippermetti pazjenti attwalment ikkurati sabiex jaċċessaw il-provvista li baqgħet ta' Kyndrisa.

Jekk inti qed tiegħu sehem fi prova klinika u teħtieġ aktar informazzjoni dwar il-kura tiegħek, ikkuntattja lit-tabib li qed jagħtihielek.