



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

24 czerwca 2016 r.
EMA/430531/2016
EMA/H/C/003846

Pytania i odpowiedzi

Wycofanie wniosku o dopuszczenie do obrotu dotyczącego produktu Kyndrisa (drisapersen)

W dniu 31 maja 2016 r. firma BioMarin International Limited oficjalnie powiadomiła Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) o zamiarze wycofania wniosku o dopuszczenie do obrotu produktu leczniczego Kyndrisa, który miał być stosowany w leczeniu dystrofii mięśniowej Duchenne'a.

Co to jest Kyndrisa?

Kyndrisa jest lekiem, który zawiera substancję czynną drisapersen. Miał on być dostępny w postaci roztworu do wstrzykiwań podskórnych.

W jakim celu miał być stosowany lek Kyndrisa?

Lek Kyndrisa miał być stosowany w leczeniu dystrofii mięśniowej Duchenne'a u pacjentów w wieku od 5 lat, którzy mogą chodzić i których choroba jest spowodowana przez określone mutacje (defekty) genetyczne, które można leczyć przez zastosowanie technologii „exon 51 skipping” – omijania eksonu 51. Dystrofia mięśniowa Duchenne'a jest poważną chorobą genetyczną, która występuje przede wszystkim u chłopców i jest zwykle diagnozowana przed ukończeniem 6 lat. Powoduje postępujące osłabienie i utratę funkcji mięśni i zazwyczaj prowadzi do śmierci w okresie dorastania lub wczesnej dorosłości.

W dniu 27 lutego 2009 r. lek Kyndrisa uznano za „lek sierocy” (lek stosowany w rzadkich chorobach) w leczeniu dystrofii mięśniowej Duchenne'a. Więcej informacji na temat uznania za lek sierocy można znaleźć [tutaj](#).



Jakie jest oczekiwane działanie leku Kyndrisa?

Powodem dystrofii mięśniowej Duchenne'a są mutacje genu białka dystrofiny prowadzące do produkcji niefunkcjonalnej dystrofiny. Lek działa dzięki wykorzystaniu technologii „exon 51 skipping” – omijania eksonu 51. Technologia ta umożliwia ominięcie przez mechanizm produkcji białek w komórce niektórych obszarów genu dystrofiny i umożliwia produkcję skróconego, lecz częściowo działającego białka dystrofiny.

Jaka dokumentacja została przedstawiona przez firmę na poparcie wniosku?

Przeprowadzono trzy badania leku Kyndrisa, które objęły łącznie 290 pacjentów z dystrofią mięśniową Duchenne'a. W badaniach porównano skuteczność leku Kyndrisa ze skutecznością placebo (leczenie obojętne); głównym kryterium oceny skuteczności była zmiana odległości, którą pacjent był w stanie pokonać w ciągu sześciu minut po 24 lub 48 tygodniach leczenia.

Na jakim etapie znajdowała się ocena w momencie wycofania wniosku?

Wniosek został wycofany po przeprowadzeniu przez CHMP oceny dokumentacji przedłożonej przez firmę i sformułowaniu list pytań. Po dokonaniu przez CHMP oceny odpowiedzi firmy na ostatnią serię pytań pewne istotne kwestie wciąż pozostawały nierozwiązane.

Jakie zalecenia wydał wówczas CHMP?

W momencie wycofania wniosku CHMP zgłosił zastrzeżenia na podstawie przeglądu danych i odpowiedzi firmy na listy pytań CHMP i wstępna opinia wskazywała, że produkt Kyndrisa nie może być zatwierdzony w leczeniu dystrofii mięśniowej Duchenne'a.

Komitet uznał, że dane z badań klinicznych nie wykazały w wystarczającym stopniu korzystnych skutków produktu Kyndrisa: w badaniu głównym nie wykazano korzyści u pacjentów cierpiących na tę chorobę, a w dwóch pozostałych badaniach nie wykazano konsekwentnie korzystnych skutków. Ponadto profil bezpieczeństwa leku został uznany za niezadowalający, w szczególności ze względu na ryzyko utrzymywania się reakcji w miejscu wstrzyknięcia (takich jak obrzęk, stan zapalny i owrzodzenie), które mogą pogarszać jakość życia, a także zagrożenie małopłytkowością (niski poziom płytek krwi), które może narażać pacjentów na poważne powikłania krwotoczne. Dodatkowo Komitet zakwestionował proponowaną metodę sterylizacji leku.

Dlatego też w momencie wycofania wniosku według CHMP korzyści ze stosowania produktu Kyndrisa nie przewyższały ryzyka.

Jakie przyczyny wycofania wniosku podała firma?

W piśmie powiadającym Agencję o wycofaniu wniosku firma stwierdziła, że nie będzie w stanie rozwiązać wątpliwości CHMP dotyczących wyników badań klinicznych w ramach oczekiwanego harmonogramu.

Pismo od firmy powiadające Agencję o wycofaniu wniosku jest dostępne [tutaj](#).

Jakie są skutki wycofania dla pacjentów uczestniczących w badaniach klinicznych lub programach „leczenia ostatniej szansy”?

Firma stwierdziła, że zamierza zakończyć prace nad lekiem, ale planuje podjęcie współpracy z lekarzami, pacjentami i lokalnymi organami regulacyjnymi w celu zapewnienia obecnie leczonym pacjentom dostępu do pozostałego zapasu produktu Kyndrisa.

W przypadku uczestnictwa w badaniach klinicznych i potrzeby dokładniejszych informacji o leczeniu należy skontaktować się z lekarzem prowadzącym.