



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

24 iunie 2016
EMA/430531/2016
EMA/H/C/003846

Întrebări și răspunsuri

Retragerea cererii de autorizare de introducere pe piață pentru Kyndrisa (drisapersen)

La data de 31 mai 2016, BioMarin International Limited a informat oficial Comitetul pentru medicamente de uz uman (CHMP) că dorește să își retragă cererea de autorizare de introducere pe piață pentru Kyndrisa, pentru tratamentul distrofiei musculare Duchenne.

Ce este Kyndrisa?

Kyndrisa este un medicament care conține substanța activă drisapersen. Medicamentul urma să fie disponibil sub formă de soluție injectabilă subcutanat.

Pentru ce ar fi trebuit să se utilizeze Kyndrisa?

Kyndrisa ar fi trebuit să se utilizeze pentru tratamentul distrofiei musculare Duchenne la pacienți cu vârsta de 5 ani sau mai mult care au capacitatea de a se deplasa și a căror boală este cauzată de anumite mutații (defecte) genetice, care pot fi tratate prin „tehnologia de salt peste exonul 51”. Distrofia musculară Duchenne este o boală genetică gravă, care afectează în principal copiii de sex masculin și se diagnostichează, de obicei, înainte ca aceștia să atingă vârsta de 6 ani. Boala determină, în mod progresiv, slăbiciune și pierderea funcției musculare și, de obicei, duce la deces în perioada adolescenței sau într-o fază timpurie a vârstei adulte.

Kyndrisa a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament folosit în bolile rare) pentru distrofia musculară Duchenne, la data de 27 februarie 2009. Informații suplimentare privind desemnarea ca medicament orfan sunt disponibile [aici](#).

Cum ar trebui să acționeze Kyndrisa?

Distrofia musculară Duchenne este cauzată de mutații ale genei la nivelul proteinei distrofina, care determină producerea unei distrofine nefuncționale. Acest medicament acționează prin „tehnologia de



salt peste exonul 51". Această tehnologie face ca aparatul din celule care produce proteina să sară peste anumite zone ale genei distrofină și să permită producerea unei proteine distrofină mai scurte, dar parțial funcționale.

Ce documentație a prezentat compania în sprijinul cererii sale?

Kyndrisa a fost investigat în trei studii care au cuprins un total de 290 de pacienți cu distrofie musculară Duchenne. Studiile au comparat efectele Kyndrisa cu placebo (un preparat inactiv), iar principală măsură a eficacității a fost modificarea distanței pe care pacientul a putut să o parcurgă pe jos în șase minute după 24 sau 48 de săptămâni de tratament.

În ce stadiu se afla evaluarea în momentul retragerii cererii?

Cererea a fost retrasă după ce CHMP finalizase evaluarea documentației prezentate de companie și formulase listele de întrebări. După evaluarea de către CHMP a răspunsurilor companiei la ultima rundă de întrebări, mai rămăseseră încă unele probleme importante nerezolvate.

Care a fost recomandarea CHMP în momentul respectiv?

Pe baza analizării datelor și a răspunsului companiei la listele de întrebări ale CHMP, în momentul retragerii cererii CHMP avea unele motive de îngrijorare, drept pentru care a emis un aviz provizoriu, potrivit căruia Kyndrisa nu putea fi aprobat pentru tratamentul distrofiei musculare Duchenne.

Comitetul a considerat că datele din studiile clinice nu au demonstrat în mod suficient vreun efect benefic al Kyndrisa: studiul principal nu a demonstrat niciun beneficiu la pacienții cu această afecțiune, în timp ce celelalte două studii nu au reușit să demonstreze în mod consecvent un efect benefic. În plus, profilul de siguranță al medicamentului nu a fost considerat satisfăcător, în special din cauza riscului de apariție a unor reacții adverse persistente la locul de injectare (cum ar fi umflare, inflamare și ulceratie), care ar putea avea un impact negativ asupra calității vieții, precum și din cauza riscului de apariție a trombocitopeniei (număr scăzut de globule albe în sânge), care ar putea supune pacienții unui risc de complicații hemoragice grave. În plus, Comitetul a pus la îndoială metoda propusă de sterilizare a medicamentului.

Prin urmare, la momentul retragerii cererii, în opinia CHMP, beneficiile Kyndrisa nu depășeau riscurile asociate.

Care au fost motivele invocate de companie pentru retragerea cererii?

În scrisoarea prin care înștiințează agenția cu privire la retragerea cererii, compania a declarat că nu putea să rezolve favorabil motivele de îngrijorare ale CHMP cu privire la rezultatele studiilor clinice în intervalul de timp prevăzut.

Scrisoarea de retragere a cererii este disponibilă [aici](#).

Care sunt consecințele retragerii cererii pentru pacienții implicați în studii clinice sau în programe de uz compasional?

Compania a precizat că intenționează să oprească dezvoltarea medicamentului, dar că își propune să lucreze împreună cu medicii, pacienții și autoritățile de reglementare pentru a le permite pacienților aflați în prezent sub tratament să aibă acces la cantitatea rămasă de Kyndrisa.

Dacă participați la un studiu clinic și aveți nevoie de informații suplimentare despre tratamentul dumneavoastră, adresați-vă medicului care vă administrează acest medicament.