



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Otázky a odpovede

Stiahnutie žiadosti o povolenie na uvedenie na trh pre liek Kyndrisa (drisapersen)

Dňa 31. mája 2016 spoločnosť BioMarin International Limited oficiálne oznámila Výboru pre lieky na humánne použitie (CHMP) rozhodnutie stiahnuť svoju žiadosť o povolenie na uvedenie lieku Kyndrisa na trh, ktorý sa mal používať na liečbu svalovej dystrofie Duchenne.

Čo je liek Kyndrisa?

Kyndrisa je liek, ktorý obsahuje účinnú látku drisapersen. Liek mal byť dostupný ako injekčný roztok na podanie pod kožu.

Aké bolo predpokladané použitie lieku Kyndrisa?

Liek Kyndrisa sa mal používať na liečbu svalovej dystrofie Duchenne u pacientov vo veku päť rokov a starších, ktorí sú schopní chodiť a ktorých ochorenie je spôsobené určitými genetickými mutáciami (chybami), ktoré sa môžu liečiť technológiou preskočenia exónu 51. Svalová dystrofia Duchenne je závažné genetické ochorenie, ktoré postihuje najmä chlapcov a zvyčajne je diagnostikované pred dosiahnutím veku šiestich rokov. Spôsobuje progresívnu slabosť a stratu svalovej funkcie a zvyčajne vedie k smrti v dospievaní alebo na začiatku dospelosti.

Liek Kyndrisa bol 27. februára 2009 označený ako liek na zriedkavé choroby (liek, ktorý sa používa pri zriedkavých chorobách) na liečbu svalovej dystrofie Duchenne. Viac informácií o označovaní liekov za lieky na zriedkavé choroby sa nachádza [tu](#).

Akým spôsobom by mal liek Kyndrisa účinkovať?

Svalová dystrofia Duchenne je zapríčinená mutáciami v géne pre bielkovinu dystrofín, čo vedie k vytváraniu nefunkčného dystrofínu. Tento liek pôsobí na základe technológie preskočenia exónu 51.



Táto technológia umožňuje, aby aparát na vytváranie bielkovín v bunkách preskočil určité oblasti dystrofínového génu a umožňuje vytváranie skrátenej, ale čiastočne funkčnej bielkoviny dystrofín.

Akou dokumentáciou podložila spoločnosť svoju žiadosť?

Liek Kyndrisa sa skúmal v troch štúdiách celkovo u 290 pacientov so svalovou dystrofiou Duchenne. V štúdiách sa porovnával účinok lieku Kyndrisa s placebom (zdanlivým liekom) a hlavným meradlom účinnosti bola zmena vo vzdialenosti, ktorú pacient dokázal prejsť za šesť minút po 24 alebo 48 týždňoch liečby.

V akej fáze hodnotenia bola žiadosť v čase stiahnutia?

Žiadosť bola stiahnutá po vyhodnotení dokumentácie, ktorú spoločnosť predložila, výborom CHMP, ktorý sformuloval zoznamy otázok. Po preskúmaní odpovedí spoločnosti na poslednú sériu otázok výborom CHMP ešte stále ostali niektoré dôležité otázky nevyriešené.

Aké bolo v tom čase odporúčanie výboru CHMP?

Na základe preskúmania údajov a odpovedí spoločnosti na zoznam otázok výboru CHMP mal výbor CHMP v čase stiahnutia žiadosti určité výhrady a dospel k predbežnému stanovisku, že liek Kyndrisa nemôže byť povolený na liečbu svalovej dystrofie Duchenne.

Výbor usúdil, že údajmi z klinických štúdií sa dostatočne nepreukázal prínos lieku Kyndrisa: v hlavnej štúdii sa nepreukázal žiadny prínos u pacientov s touto chorobou, zatiaľ čo v dvoch iných štúdiách sa prínos nepreukázal konzistentne. Bezpečnostný profil lieku sa okrem toho považoval za neuspokojivý, konkrétne pre riziko pretrvávajúcich reakcií na mieste vpichu (ako je opuch, zápal a ulcerácia), čo by mohlo mať negatívny vplyv na kvalitu života, a pre riziko trombocytopenie (nízkeho počtu krvných doštičiek), čo by pacientov mohlo vystaviť riziku závažných komplikácií krvácania. Výbor tiež spochybnil navrhnutú metódu sterilizácie lieku.

Výbor CHMP preto v čase stiahnutia žiadosti zastával názor, že prínos lieku Kyndrisa neprevyšuje jeho riziká.

Aké dôvody na stiahnutie žiadosti uviedla spoločnosť?

V liste oznamujúcom agentúre stiahnutie žiadosti spoločnosť uviedla, že nebude môcť v očakávanom časovom rámci vyriešiť výhrady výboru CHMP, pokiaľ ide o výsledky klinických štúdií.

List spoločnosti oznamujúci agentúre stiahnutie žiadosti sa nachádza [tu](#).

Aké sú dôsledky stiahnutia žiadosti pre pacientov, ktorí sa zúčastňujú na klinických skúšaní alebo na programoch na použitie v naliehavých prípadoch?

Spoločnosť uviedla, že chce zastaviť vývoj lieku, ale že plánuje spolupracovať s lekármi, pacientmi a miestnymi regulačnými orgánmi, aby umožnili pacientom, ktorí sú v súčasnosti liečení, prístup k zvyšným zásobám lieku Kyndrisa.

Ak ste však účastníkom klinického skúšania a potrebujete viac informácií o svojej liečbe, obráťte sa na svojho ošetrojúceho lekára.