



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Vprašanja in odgovori

Umik vloge za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Kyndrisa (drisapersen)

Družba BioMarin International Limited je dne 31. maja 2016 uradno obvestila Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP), da želi umakniti vlogo za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Kyndrisa, namenjenim zdravljenju Duchennove mišične distrofije.

Kaj je zdravilo Kyndrisa?

Kyndrisa je zdravilo, ki vsebuje zdravilno učinkovino drisapersen. Na voljo naj bi bila v obliki raztopine za injiciranje pod kožo.

Za kaj naj bi se zdravilo Kyndrisa uporabljalo?

Zdravilo Kyndrisa naj bi se uporabljalo za zdravljenje Duchennove mišične distrofije pri bolnikih, starih pet let in več, ki lahko hodijo, njihova bolezen pa je posledica določenih genetskih mutacij (okvar) in se lahko zdravi s „tehnologijo preskakovanja eksona 51“. Duchennova mišična distrofija je huda genetska bolezen, ki večinoma prizadene dečke in se navadno diagnosticira pred 6. letom starosti. Povzroča napredujočo oslabelost in zmanjševanje mišične funkcije ter navadno povzroča smrt v adolescenci ali zgodnji odrasli dobi.

Zdravilo Kyndrisa je bilo dne 27. februarja 2009 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni) za Duchennovo mišično distrofijo. Več informacij o zdravilih sirotah je na voljo [tukaj](#).

Kako naj bi zdravilo Kyndrisa delovalo?

Duchennovo mišično distrofijo povzročajo mutacije v genu za beljakovino distrofin, kar povzroči nastajanje nedelujočega distrofina. To zdravilo deluje s pomočjo „tehnologije preskakovanja eksona 51“. S to tehnologijo aparat za proizvodnjo beljakovin v celicah preskoči nekatera območja gena za distrofin in omogoči tvorbo krajše, vendar še delno delujoče distrofinske beljakovine.



Katero dokumentacijo je družba predložila v podporo svoji vlogi?

Zdravilo Kyndrisa so preučevali v treh študijah pri skupaj 290 bolnikih z Duchennovo mišično distrofijo. V študijah so primerjali učinek zdravila Kyndrisa s placebom (zdravilom brez zdravilne učinkovine), glavno merilo učinkovitosti pa je bila sprememba razdalje, ki jo je bolnik lahko prehodil v šestih minutah po 24 ali 48 tednih zdravljenja.

Kako daleč je bil postopek ocenjevanja vloge ob njenem umiku?

Vlogo so umaknili po tem, ko je CHMP ocenil dokumentacijo, ki jo je predložila družba, in oblikoval seznam vprašanj. Potem ko je ocenil odgovore družbe na zadnji sklop vprašanj, so nekatera pomembna vprašanja še vedno ostala nerešena.

Kakšno je bilo takrat priporočilo CHMP?

Na podlagi pregleda podatkov in odgovorov družbe na sezname vprašanj, ki jih je zastavil odbor CHMP, je ta v času umika izrazil določene zadržke in je začasno menil, da zdravila Kyndrisa ni mogoče odobriti za zdravljenje Duchennove mišične distrofije.

Odbor je ocenil, da podatki iz kliničnih študij koristnega učinka zdravila Kyndrisa ne dokazujejo v zadostni meri: z glavno študijo niso dokazali koristi pri bolnikih s to boleznijo, drugi dve študiji pa koristnega učinka nista dosledno dokazali. Poleg tega tudi varnostni profil zdravila ni bil ocenjen kot zadovoljiv, zlasti zaradi tveganja za trajne reakcije na mestu injiciranja (kot so otekanje, vnetje in razjede), ki bi lahko negativno vplivale na kakovost življenja, in tveganja za trombocitopenijo (nizko raven trombocitov), ki bi lahko povečalo tveganje za hude zaplete s krvavitvami. Poleg tega je podvomil o predlagani metodi sterilizacije zdravila.

Zato je CHMP v času umika menil, da koristi zdravila Kyndrisa ne odtehtajo z njim povezanih tveganj.

Kakšni so bili razlogi družbe za umik vloge?

Družba je v dopisu, s katerim agencijo obvešča o umiku vloge, navedla, da v pričakovanem časovnem okviru ne bi mogla ukrepati v zvezi z zadržki odbora CHMP o rezultatih kliničnih študij.

Dopis o umiku je na voljo [tukaj](#).

Kakšne so posledice umika za bolnike, ki sodelujejo v kliničnih preskušanjih ali programih sočutne uporabe zdravila?

Družba je navedla, da namerava ustaviti razvoj zdravila, vendar načrtuje sodelovanje z zdravniki, bolniki in lokalnimi regulativnimi organi in želi omogočiti trenutno zdravljenim bolnikom dostop do preostalih zalog zdravila Kyndrisa.

Če ste vključeni v klinično preskušanje in potrebujete več informacij o zdravljenju, se obrnite na zdravnika, ki vam je predpisal zdravljenje.