



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2017. december 15.
EMA/821654/2017
EMA/H/C/004153

A Qizenday-re (biotin) vonatkozó forgalomba hozatali engedély iránti kérelem visszavonása

2017. november 13-án a Medday Pharmaceuticals hivatalosan értesítette az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottságát (CHMP), hogy vissza kívánja vonni a progresszív szklerózis multiplex kezelésére szánt Qizenday-re vonatkozó forgalomba hozatali engedély iránti kérelmét.

Milyen típusú gyógyszer a Qizenday?

A Qizenday egy gyógyszer, amelynek hatóanyaga a biotin. Szájon át adható kapszula formájában kívánták forgalomba hozni.

Milyen alkalmazásra szánták a Qizenday-t?

A Qizenday-t a szklerózis multiplex progresszív formájában szenvedő felnőttek kezelésére szánták – ez olyan betegség, amelynél az agyban és a gerincvelőben található idegsejteket körülvevő védőhüvely károsodik, és az idegek fokozatosan degenerálódnak. A tünetek közé tartozik a gyengeség, a járási nehézség és a látásproblémák. A progresszív azt jelenti, hogy a tünetek az idő során fokozatosan rosszabbodnak.

Hogyan fejti ki hatását a Qizenday?

A Qizenday hatásmechanizmusa szklerózis multiplex esetén nem teljesen tisztázott; az elgondolások szerint azonban a gyógyszer a (karboxilázoknak nevezett) enzimekre hat, ezáltal növeli az energiatermelést a károsodott idegekben, és segíti az idegsejteket borító védőhüvely helyreállítását.

Az említett enzimek közül három az energiatermelésben, a negyedik pedig feltehetően az idegsejteket körülvevő hüvely előállításában játszik szerepet.

Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a kérelem alátámasztására?

A vállalat két fő vizsgálat eredményeit nyújtotta be, amelyek a Qizenday-t placebóval (hatóanyag nélküli kezeléssel) hasonlították össze. Az első vizsgálatban 154, gerincvelői progresszív szklerózis



multiplexben szenvedő beteg vett részt. A hatékonyság fő mértéke azoknak a betegeknek a száma volt, akiknek összesített képességcsökkenése enyhült és járóképessége javult.

A második vizsgálatban 93 szklerózis multiplexes beteg vett részt, akiknél a szemideg gyulladása miatt látáscsökkenés állt fenn. A hatékonyság fő mértéke a látás javulása volt.

A visszavonás előtt meddig jutott el a kérelem az elbírálási folyamatban?

A kérelmet azt követően vonták vissza, hogy a CHMP már értékelte a vállalat által benyújtott dokumentációt, és kidolgozta a kérdéslisztákat. Miután a CHMP értékelte a vállalatnak az utolsó kérdéssorra adott válaszait, még mindig maradt néhány megoldatlan probléma.

Mit tartalmazott a CHMP ajánlása az adott időpontban?

A visszavonás időpontjában az adatok és a vállalat által a CHMP listáin szereplő kérdésekre adott válaszok áttekintése alapján a CHMP részéről néhány aggály merült fel, és az volt az ideiglenes véleménye, hogy a Qizenday alkalmazása nem engedélyezhető a progresszív szklerózis multiplex kezelésére.

A CHMP úgy ítélte meg, hogy a gyógyszer hatásosságára vonatkozó adatok nem voltak kellően megalapozottak, és a Qizenday-jel kezelt betegek kis száma miatt bizonytalanságok merültek fel a gyógyszer biztonságosságával kapcsolatban. A bizottság véleménye ezenfelül az volt, hogy több információra van szükség a gyógyszer szervezetben zajló felszívódásáról, módosulásáról és kiürüléséről.

Ezért a visszavonás időpontjában a CHMP meglátása szerint a Qizenday előnyei nem haladták meg a kockázatokat.

Mivel indokolta a vállalat a kérelem visszavonását?

Az Ügynökséget a kérelem visszavonásáról értesítő levelében a vállalat úgy nyilatkozott, hogy a visszavonás a CHMP azon véleményén alapul, miszerint a benyújtott klinikai adatok alapján a bizottság nem tudja megállapítani a Qizenday pozitív előny-kockázat profilját.

A visszavonásról szóló levél [itt](#) olvasható.

Milyen következményekkel jár a visszavonás azokra a betegekre nézve, akik részt vesznek a klinikai vizsgálatokban vagy engedélyezés előtti kezelési programokban?

A vállalat tájékoztatta a CHMP-t, hogy nincs következmény az Qizenday-jel végzett klinikai vizsgálatokban vagy engedélyezés előtti kezelési programokban jelenleg részt vevő betegekre nézve.

Ha Ön ilyen klinikai vizsgálatban vagy engedélyezés előtti kezelési programban vesz részt, és kezelését illetően további információra van szüksége, vegye fel a kapcsolatot kezelőorvosával.