



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

29 май 2019 г.
EMA/293450/2019
EMA/H/C/004938

Оттегляне на заявлението за разрешаване за употреба на Radicava (edaravone)

На 24 май 2019 г. Mitsubishi Tanabe Pharma GmbH официално уведомява Комитета по лекарствените продукти за хуманна употреба (CHMP), че желае да оттегли заявлението си за разрешаване за употреба на Radicava, показан за лечение амиотрофична латерална склероза (АЛС).

Какво представлява Radicava?

Radicava е лекарство, съдържащо активното вещество едаравон (edaravone). Очаквало се е да се предлага под формата на разтвор за инфузия (вливане) във вена.

За какво се очаква да се използва Radicava?

Radicava се очаква да се използва за лечение на пациенти с амиотрофична латерална склероза (АЛС). АЛС е заболяване на нервната система, при което нервните клетки в главния и гръбначния мозък, които контролират съзнателното движение, постепенно се влошават, което води до загуба на мускулна функция и парализа.

Очаква се Radicava да се използва за забавяне на влошаването на заболяването при пациенти, които все още могат да извършват обичайни ежедневни дейности.

Radicava е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, което се използва при редки болести) на 19 юни 2015 г. за АЛС. Допълнителна информация за определянето на лекарството сирак можете да намерите [ТУК](#).

Как действа Radicava?

Точният начин на действие на Radicava при пациенти с АЛС не е известен, но се смята, че неутрализира молекулите, съдържащи кислород, наречени „свободни радикали“, които са свързани с увреждането на нервите при пациентите с АЛС.



Какво е представила фирмата в подкрепа на своето заявление?

Фирмата е представила резултатите от основно проучване при 137 пациенти с АЛС, които получават Radicava или плацебо (сляпо лечение). Проучването разглежда промяната в симптомите на пациентите за период от 24 седмици чрез стандартна скала за оценка, наречена „Преработена функционална скала за оценка на АЛС“ (ALSFRS-R). Лекарите я използват, за да оценяват способностите на пациентите да говорят, да дишат, да се хранят и да извършват други обичайни дейности.

На какъв етап от оценката е заявлението към момента на оттеглянето?

Заявлението е оттеглено, след като CHMP е оценил документацията, представена от фирмата, и е изготвил списък с въпроси. След като CHMP е оценил отговорите на фирмата на последната група въпроси, все още остават някои неразрешени проблеми.

Какви са препоръките на CHMP към момента на оттеглянето?

Към момента на оттеглянето CHMP има известни забележки и изразява предварителното становище, че Radicava не може да бъде одобрен.

Комитетът отбеляза, че основното проучване действително показва значителни подобрения в оценките по ALSFRS-R при пациентите, получаващи Radicava, в сравнение с пациентите, получаващи плацебо. Същевременно проучването обхваща само малък брой пациенти и не са представени достатъчно доказателства за подобрения по отношение на други показатели, например свързаните с преживяването, дишането и мускулната сила.

Освен това CHMP отбеляза важни разлики между двете групи, което може да е оказало влияние върху крайните резултати — например факта, че по-големият брой пациенти в групата на Radicava са с по-малко тежко заболяване. Когато пациентите от групата на плацебо впоследствие преминават на Radicava, ефектът от лечението е незначителен.

CHMP има също опасения относно продължителността на ползите от Radicava, като изтъкна, че 24 седмици (крайната точка за събиране на данни в основното проучване) е твърде кратък период и че данните от фаза на допълнителното лечение в проучването трудно се поддават на тълкуване.

Предвид очевидната нужда от допълнителни доказателства за ефективността на Radicava, Комитетът обмисли възможността от „разрешаване под условие“, което ще позволи на фирмата да представи данни на по-късен етап. Фирмата предложи регистрово проучване, в което пациентите, лекувани с Radicava, да бъдат сравнени с пациенти, получили други лечения за АЛС в миналото. Комитетът обмисли положителните страни на подобно проучване, но изрази известни възражения, включително аргумента, че лечението за АЛС се е променило значително през последните няколко години, което затруднява сравненията.

По време на оценката CHMP изиска становището на група експерти в областта относно резултатите от проучването, предложения регистър и популацията от пациенти, които потенциално биха имали полза от лечението с Radicava. Към момента на оттеглянето, становището на Комитета е, че ползите от Radicava не превишават рисковете, тъй като ефективността не е доказана.

Какви причини посочва фирмата за оттегляне на заявлението?

В писмото, с което фирмата уведомява Агенцията за оттеглянето на заявлението, се посочва, че оттеглянето се основава на предварителното становище на Комитета относно данните от проучването. Писмото за оттеглянето може да се намери [тук](#).

Какви са последствията от оттеглянето за пациентите, участващи в клинични изпитвания или програми с милосърдна цел?

Фирмата е уведомила CHMP, че оттеглянето няма да доведе до последствия за текущите клинични изпитвания. Фирмата ще продължи текущите си програми с милосърдна цел, докато са в ход дискусиите с националните органи, които вече са издали одобрение за палиативна употреба.