



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

29 de mayo de 2019
EMA/293450/2019
EMA/H/C/004938

Retirada de la solicitud de autorización de comercialización de Radicava (edaravone)

El 24 de mayo de 2019, Mitsubishi Tanabe Pharma GmbH notificó oficialmente al Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) que deseaba retirar su solicitud de autorización de comercialización de Radicava para el tratamiento de la esclerosis lateral amiotrófica.

¿Qué es Radicava?

Radicava es un medicamento que contiene el principio activo edaravone. Iba a presentarse en solución para perfusión intravenosa (goteo).

¿A qué uso estaba destinado Radicava?

Radicava iba a utilizarse para el tratamiento de la esclerosis lateral amiotrófica (ELA). La ELA es una enfermedad del sistema nervioso en la que las neuronas del cerebro y la médula espinal encargadas de controlar el movimiento voluntario experimentan un deterioro progresivo, lo que provoca pérdida de la función muscular y parálisis.

Se esperaba que Radicava se utilizara para frenar el empeoramiento de la enfermedad en pacientes que todavía pueden realizar sus actividades cotidianas.

Radicava fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 19 de junio de 2015 para la ELA. Puede encontrarse más información sobre la designación de medicamento huérfano [aquí](#).

¿Cómo actúa Radicava?

No se conoce la forma exacta en que actúa Radicava en pacientes con ELA, pero se cree que neutraliza las moléculas que contienen oxígeno, conocidas como «radicales libres», que se han vinculado a daños nerviosos en pacientes con ELA.

¿Qué documentación presentó la empresa en apoyo de su solicitud?

La empresa presentó los resultados de un estudio principal en 137 pacientes con ELA que recibieron Radicava o un placebo (un tratamiento ficticio). En el estudio se examinó en qué grado evolucionaron

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



los síntomas de los pacientes a lo largo de 24 semanas, utilizando una escala estándar conocida como «tasa de calificación funcional de ELA revisada» (ALSFRS-R). Los médicos utilizan esta escala para calcular el número de pacientes que pueden hablar, respirar, comer y realizar otras actividades normales.

¿En qué fase se encontraba la evaluación de la solicitud cuando fue retirada?

La solicitud fue retirada después de que el CHMP hubiera evaluado la documentación presentada por la empresa y formulado listas de preguntas. Después de que el CHMP hubo evaluado las respuestas de la empresa a la última serie de preguntas, aún quedaban algunas cuestiones sin resolver.

¿Qué recomendaba el CHMP en ese momento?

En el momento de la retirada, el CHMP tenía reservas y mantenía la opinión provisional de que Radicava no debía haber sido aprobado.

El Comité observó que el estudio principal muestra mejoras significativas en las puntuaciones de ALSFRS-R en pacientes que recibieron Radicava en comparación con los que recibieron placebo. Sin embargo, en ese estudio solo participó un número reducido de pacientes y no había pruebas suficientes de mejoras en otras medidas importantes, como las relacionadas con la supervivencia, la respiración y la fuerza muscular.

Por otra parte, el CHMP observó diferencias importantes entre los dos grupos que podrían haber influido en los resultados finales, como el hecho de que un mayor número de pacientes en el grupo al que se administró Radicava sufrían una forma menos grave de la enfermedad. Cuando los pacientes que participaron en el grupo placebo cambiaron posteriormente a Radicava no se produjo ningún efecto apreciable.

El CHMP también mostró su preocupación por la duración de cualquier beneficio de Radicava, señalando que 24 semanas (punto de corte en el estudio principal) era un plazo demasiado corto y que los datos de la fase de extensión del estudio eran difíciles de interpretar.

Dada la evidente necesidad de nuevas pruebas de la eficacia de Radicava, el Comité consideró la posibilidad de conceder una autorización condicional, lo que permitiría a la empresa proporcionar más datos en una fase posterior. La empresa propuso un estudio de registro en el que los pacientes tratados con Radicava se pudieran comparar con los pacientes que hubieran recibido otros tratamientos de ELA en el pasado. El Comité consideró los méritos de un estudio de este tipo, pero tenía algunas objeciones, incluido el hecho de que el tratamiento de la ELA había cambiado significativamente en los últimos años, lo que dificultaba las comparaciones.

Durante la evaluación, el CHMP consultó a un grupo de expertos en la materia para recabar sus puntos de vista sobre los resultados del estudio, el registro propuesto y la población de pacientes que podría beneficiarse del tratamiento con Radicava. Por consiguiente, en el momento de la retirada, el CHMP estimaba que, dado que no se había demostrado la eficacia, los beneficios de Radicava no superaban los riesgos.

¿Cuáles fueron las razones aducidas por la empresa para retirar su solicitud?

En el escrito en el que notificaba a la Agencia la retirada de su solicitud, la empresa declaró que la retirada se basaba en el dictamen provisional del Comité sobre los datos del estudio. El escrito de retirada puede encontrarse [aquí](#).

¿Qué consecuencias tiene esta retirada para los pacientes que participan en los ensayos clínicos o programas de uso compasivo?

La empresa informó al CHMP de que la retirada no tendrá consecuencias en los ensayos clínicos en curso. La empresa continuará con sus programas de uso compasivo en curso a la espera de los debates con las autoridades nacionales que ya han concedido la autorización para uso compasivo.