



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2019 m. gegužės 29 d.  
EMA/293450/2019  
EMA/H/C/004938

## Paraiškos gauti Radicava (edaravono) registracijos pažymėjimą atsiėmimas

2019 m. gegužės 24 d. bendrovė „Mitsubishi Tanabe Pharma GmbH“ oficialiai pranešė Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komitetui (CHMP) apie savo pageidavimą atsiimti paraišką gauti Radicava, skirtą šoninės amiotrofinės sklerozės (ŠAS) gydymui, registracijos pažymėjimą.

### Kas yra Radicava?

Radicava – tai vaistas, kurio sudėtyje yra veikliosios medžiagos edaravono. Jį buvo numatyta tiekti infuzinio (į veną lašinamo) tirpalo forma.

### Kokiais atvejais buvo numatyta vartoti Radicava?

Radicava buvo numatyta gydyti šonine amiotrofine skleroze (ŠAS) sergančius pacientus. ŠAS yra nervų sistemos liga, kuria sergant galvos ir stuburo smegenų nervinės ląstelės, kurios kontroliuoja valingus judesius, laipsniškai degeneruoja, dėl to silpnėja raumenų funkcija ir išsivysto paralyžius.

Radicava buvo tikimasi vartoti siekiant sulėtinti ligos progresavimą pacientams, kurie vis dar gali vykdyti įprastą kasdienę veiklą.

Pagal ŠAS gydymo indikaciją Radicava priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai 2015 m. birželio 19 d. Daugiau informacijos apie vaistų priskyrimą retųjų vaistų kategorijai rasite [čia](#).

### Kaip veikia Radicava?

Tikslus Radicava veikimo būdas ŠAS sergantiems pacientams nėra žinomas, tačiau manoma, kad jis neutralizuoja deguonies turinčias molekules, vadinamas laisvaisiais radikalais, kurie siejami su ŠAS sergančių pacientų nerviniais pažeidimais.

### Kokius dokumentus bendrovė pateikė kartu su paraiška?

Bendrovė pateikė pagrindinio tyrimo su 137 Radicava arba placebo (preparatą be veikliosios medžiagos) vartojusiais ŠAS sergančiais pacientais, rezultatus. Tyrime buvo stebima, ar ženkliai pasikeitė pacientų simptomai per 24 savaites, naudojant standartinę vertinimo skalę, vadinamą

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

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

An agency of the European Union



patikslinta ŠAS funkcinio vertinimo skale (ALSFRS-R). Pagal šią skalę gydytojai vertina pacientų gebėjimą kalbėti, gerti, valgyti ir atlikti kitą įprastą veiklą.

## **Kuriuo paraiškos nagrinėjimo etapu paraiška atsiimta?**

Paraiška atsiimta, kai CHMP jau buvo įvertinęs bendrovės pateiktus dokumentus ir parengęs klausimų sąrašus. CHMP įvertinus bendrovės atsakymus į paskutinį kartą pateiktus klausimus, vis dar buvo likę neišspręstų klausimų.

## **Kokia tuo metu buvo CHMP rekomendacija?**

Paraiškos atsiėmimo metu CHMP dar turėjo abejonių ir buvo priėmęs negalutinę nuomonę, kad Radicava negali būti registruotas.

Komitetas atkreipė dėmesį į tai, kad pagrindiniame tyrime Radicava vartojusių pacientų ALSFRS-R rodikliai buvo gerokai aukštesni, palyginti su placebo vartojančiais pacientais. Tačiau tyrime dalyvavo nedaug pacientų, o kitų svarbių rodiklių, pavyzdžiui, padedančių įvertinti išgyvenamumo trukmę, kvėpavimą ir raumenų stiprumą, pagerėjimo įrodymų trūko.

Be to, CHMP atkreipė dėmesį į svarbius šių dviejų grupių skirtumus, kurie galėjo turėti įtakos galutiniams rezultatams, pavyzdžiui, kad tarp Radicava vartojusių pacientų daugiau sirgo ne tokios sunkios formos liga. Po to, kai placebo grupės pacientams vėliau buvo pradėtas skirti Radicava, jokio pastebimo poveikio nenustatyta.

CHMP taip pat išreiškė susirūpinimą dėl Radicava poveikio trukmės, atkreipdamas dėmesį į tai, kad 24 savaitžių laikotarpis (pagrindinio tyrimo ribinis taškas) buvo per trumpas, o pratęsto etapo duomenis aiškinti sunku.

Įvertinęs aiškų poreikį pateikti daugiau informacijos apie Radicava veiksmingumą, komitetas svarstė galimybę suteikti sąlyginį registracijos pažymėjimą, kuris leistų bendrovei išsamesnius duomenis pateikti vėliau. Bendrovė pasiūlė atlikti registro tyrimą, kuriame Radicava gydyti pacientai būtų lyginami su kitokius vaistus nuo ŠAS anksčiau vartojusiais pacientais. Komitetas apsvarstė tokio tyrimo privalumus, tačiau turėjo tam tikrų prieštaravimų, nes per keletą pastarųjų metų ŠAS gydymo metodai labai pasikeitė, todėl palyginimus atlikti būtų sunku.

Atlikdamas vertinimą, CHMP konsultavosi su šios srities ekspertų grupe, norėdamas sužinoti jų nuomonę apie tyrimo rezultatus, siūlomą registro tyrimą ir pacientų populiaciją, kuriems gydymas Radicava galėtų būti naudingas. Todėl paraiškos atsiėmimo metu CHMP laikėsi nuomonės, kad neįrodžius vaisto veiksmingumo Radicava teikiama nauda nėra didesnė už keliamą riziką.

## **Kokias paraiškos atsiėmimo priežastis nurodė bendrovė?**

Laiške, kuriuo agentūrai pranešta apie paraiškos atsiėmimą, bendrovė nurodė paraišką atsiimanti dėl negalutinės komiteto nuomonės apie tyrimų duomenis. Laišką, kuriuo pranešama apie paraiškos atsiėmimą, galima rasti [čia](#).

## **Kokių pasekmių paraiškos atsiėmimas turės pacientams, dalyvaujantiems klinikiniuose tyrimuose arba labdaringo vartojimo programose?**

Bendrovė pranešė CHMP, kad paraiškos atsiėmimas neturės jokių pasekmių šiuo metu atliekamiems klinikiniams tyrimams. Bendrovė toliau vykdys labdaringo vartojimo programas, kol bus surengtos diskusijos su nacionalinėmis valdžios institucijomis, kurios jau pritarė labdaringam vaisto vartojimui.