



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

29 maja 2019 r.
EMA/293450/2019
EMA/H/C/004938

Wycofanie wniosku o dopuszczenie do obrotu dotyczącego produktu Radicava (edarawon)

W dniu 24 maja 2019 r. firma Mitsubishi Tanabe Pharma GmbH powiadomiła Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) o zamiarze wycofania wniosku o dopuszczenie do obrotu produktu Radicava, który miał być stosowany w leczeniu stwardnienia zanikowego bocznego (ALS).

Co to jest Radicava?

Radicava to lek zawierający substancję czynną edarawon. Miał on być dostępny w postaci roztworu do wlewu dożylnego (kroplówki).

W jakim celu miał być stosowany produkt Radicava?

Radicava miał być stosowany w leczeniu stwardnienia zanikowego bocznego (ALS). ALS jest chorobą układu nerwowego, w przebiegu której komórki nerwowe w mózgu i rdzeniu kręgowym, które kontrolują ruchy dowolne, ulegają stopniowemu uszkodzeniu, powodując utratę czynności mięśni i porażenie.

Lek Radicava miał być stosowany w celu spowolnienia choroby u pacjentów mogących nadal prowadzić normalną aktywność.

W dniu 19 czerwca 2015 r. lek Radicava uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach) w leczeniu ALS. Więcej informacji na temat uznania za lek sierocy można znaleźć [tutaj](#).

Jak działa produkt Radicava?

Dokładny sposób działania leku Radicava u pacjentów cierpiących na ALS nie jest znany, ale przypuszcza się, że neutralizuje on cząsteczki zawierające tlen znane jako wolne rodniki, odpowiedzialne za uszkodzenie nerwów u pacjentów z ALS.

Jaką dokumentację przedstawiła firma na poparcie wniosku?

Firma przedstawiła wyniki badania głównego z udziałem 137 pacjentów z ALS leczonych produktem Radicava bądź placebo (leczenie pozorowane). W badaniu obserwowano zmianę objawów choroby u pacjentów przez okres 24 tygodni przy użyciu metody zwanej „funkcjonalną skalą ratingową ALS”

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



(ALSFRS-R). Lekarze wykorzystują tę skalę do oceny mowy, oddychania, odżywiania i innych podstawowych czynności pacjenta.

Na jakim etapie znajdowała się ocena w momencie wycofania wniosku?

Wniosek wycofano po przeprowadzeniu przez CHMP oceny dokumentacji przedłożonej przez firmę i sformułowaniu list pytań. Po tym, jak CHMP ocenił odpowiedzi firmy na ostatnią serię pytań, kilka kwestii pozostało nierozwiązanych.

Jakie zalecenia wydał wówczas CHMP?

W momencie wycofania wniosku CHMP wyraził obawy i wydał tymczasową opinię o braku akceptacji dla leku Radicava.

Komitet odnotował fakt, że w badaniu głównym wykazano istotną poprawę wyników w skali ALSFRS-R u pacjentów otrzymujących lek Radicava, w porównaniu z pacjentami otrzymującymi placebo. Jednak w badaniu wzięła udział niewielka liczba pacjentów i brakowało wystarczających dowodów na poparcie postępów dotyczących innych ważnych pomiarów, jak np. tych związanych z przeżyciem, oddychaniem i siłą mięśni.

Ponadto CHMP odnotował ważne różnice między dwoma grupami, które mogły wpłynąć na wyniki końcowe – jak fakt, że większa liczba pacjentów w grupie przyjmującej lek Radicava cierpiała na mniej poważną chorobę. Przejście pacjentów z grupy placebo na późniejszym etapie na terapię lekiem Radicava nie przyniosło widocznych zmian.

CHMP wyraził również obawy w stosunku do okresu trwania korzyści z leku Radicava, uznając okres 24 tygodni (okres odciążenia w głównym badaniu) za zbyt krótki, a dane z fazy kontynuacyjnej badania za trudne do interpretacji.

Biorąc pod uwagę konieczność dalszych dowodów na potwierdzenie skuteczności leku Radicava, Komitet rozważył możliwość zatwierdzenia warunkowego, co pozwoliłoby firmie na dostarczenie większej ilości danych na dalszym etapie. Firma zaproponowała przeprowadzenie badania rejestrowego, tak by pacjentów poddanych terapii lekiem Radicava można byłoby porównać z pacjentami, którzy byli poddani leczeniu innymi rodzajami terapii na ALS. Komitet uznał zalety takiego badania, ale miał pewne zastrzeżenia, w tym fakt, że nastąpiły istotne zmiany w zakresie leczenia ALS na przestrzeni ostatnich lat, co utrudnia przeprowadzenie porównań.

Podczas przeprowadzania oceny CHMP skonsultował się z grupą ekspertów z dziedziny, aby zasięgnąć ich opinii na temat wyników badania, proponowanego rejestru i populacji pacjentów, która mogłaby odnieść korzyści z terapii lekiem Radicava. W momencie wycofania wniosku zdaniem Komitetu, z uwagi na brak dowiedzionej skuteczności, korzyści ze stosowania leku Radicava nie przewyższały ryzyka.

Jakie przyczyny wycofania wniosku podała firma?

W swoim piśmie powiadamiającym Agencję o wycofaniu wniosku firma oświadczyła, że wycofanie było oparte na tymczasowej opinii Komitetu dotyczącej danych badawczych. Pismo powiadamiające o wycofaniu wniosku jest dostępne [tutaj](#).

Jakie są skutki wycofania dla pacjentów uczestniczących w badaniach klinicznych lub programach „leczenia ostatniej szansy”?

Firma powiadomiła CHMP, że wycofanie wniosku nie będzie miało wpływu na prowadzone badania kliniczne. Firma będzie nadal prowadzić trwające programy „leczenia ostatniej szansy” w wyniku dyskusji z organami krajowymi, które wyraziły już zgodę na leczenie ostatniej szansy.