



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

29 mai 2019
EMA/293450/2019
EMA/H/C/004938

Retragerea cererii de autorizare de punere pe piață pentru Radicava (edaravonă)

La 24 mai 2019, Mitsubishi Tanabe Pharma GmbH a informat oficial Comitetul pentru medicamente de uz uman (CHMP) că dorește să-și retragă cererea de autorizare de punere pe piață pentru Radicava, pentru tratamentul sclerozei laterale amiotrofice (SLA).

Ce este Radicava?

Radicava este un medicament care conține substanța activă edaravonă. Medicamentul urma să fie disponibil sub formă de soluție perfuzabilă (picurare în venă).

Pentru ce ar fi trebuit să se utilizeze Radicava?

Radicava ar fi trebuit să se utilizeze pentru tratarea pacienților cu scleroză laterală amiotrofică (SLA). SLA este o boală a sistemului nervos, în care celulele nervoase din creier și din măduva spinării care controlează mișcarea voluntară se deteriorează treptat, cauzând pierderea funcției musculare și paralizie.

Radicava ar fi trebuit să se utilizeze pentru a încetini agravarea bolii la pacienții care pot încă efectua activități zilnice obișnuite.

Radicava a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament folosit în bolile rare) la data de 19 iunie 2015 pentru SLA. Informații suplimentare privind desemnarea ca medicament orfan sunt disponibile [aici](#).

Cum acționează Radicava?

Nu se cunoaște modul exact în care acționează Radicava la pacienții cu SLA, dar se crede că neutralizează moleculele care conțin oxigen, numite „radicali liberi”, care sunt asociate cu lezarea nervilor la pacienții cu SLA.

Ce documentație a prezentat compania în sprijinul cererii sale?

Compania a prezentat rezultatele unui studiu principal pe 137 de pacienți cu SLA care au primit fie Radicava, fie placebo (un preparat inactiv). Studiul a analizat măsura în care simptomele pacienților s-

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



au schimbat într-o perioadă de 24 săptămâni, pe o scară de evaluare standard numită „scară de evaluare funcțională revizuită pentru SLA” (ALSFRS-R). Medicii utilizează această scară pentru a evalua cât de bine pot pacienții să vorbească, să respire, să mănânce și să desfășoare alte activități obișnuite.

În ce stadiu se afla evaluarea în momentul retragerii cererii?

Cererea a fost retrasă după ce CHMP evaluase documentația prezentată de companie și formulase listele de întrebări. După evaluarea de către CHMP a răspunsurilor companiei la ultima rundă de întrebări, existau încă unele probleme nerezolvate.

Care a fost recomandarea CHMP în momentul respectiv?

În momentul retragerii cererii, CHMP avea unele motive de îngrijorare și a dat un aviz provizoriu potrivit căruia Radicava nu putea fi aprobat.

Comitetul a observat că studiul principal a arătat îmbunătățiri semnificative în privința scorurilor ALSFRS-R la pacienții care au primit Radicava, față de cei care au primit placebo. Studiul a cuprins însă doar un număr mic de pacienți și nu au existat dovezi suficiente de îmbunătățiri în alte **măsurători** importante, cum sunt cele legate de supraviețuire, de respirație și de forța musculară.

Mai mult, CHMP a observat că între cele două grupe existau diferențe importante, care ar fi putut influența rezultatele finale - cum ar fi faptul că în grupul Radicava erau mai mulți pacienți cu boală mai puțin severă. Când pacienții din grupul placebo au fost trecuți mai târziu pe Radicava, nu a existat niciun efect notabil.

CHMP avea motive de îngrijorare și cu privire la durata eventualelor beneficii ale Radicava, observând că 24 de săptămâni (valoare de prag în studiul principal) era o perioadă prea scurtă și că datele din faza de extensie a studiului erau dificil de interpretat.

Dată fiind necesitatea evidentă a unor dovezi suplimentare ale eficacității Radicava, Comitetul a luat în considerare posibilitatea unei aprobări condiționate, care să permită companiei să furnizeze mai multe date într-o etapă ulterioară. Compania a propus un studiu de registru prin care pacienții tratați cu Radicava să poată fi comparați cu pacienții care au primit alte tratamente pentru SLA în trecut. Comitetul a analizat avantajele unui asemenea studiu, dar a avut unele obiecții, printre care faptul că tratamentul pentru SLA se schimbaseră semnificativ în ultimii ani, ceea ce făcea ca eventualele comparații să fie dificile.

În cursul evaluării, CHMP a consultat un grup de experți în domeniu pentru a obține opiniile lor cu privire la rezultatele studiului, la registrul propus și la populația de pacienți care ar putea beneficia de tratamentul cu Radicava. La momentul retragerii cererii, în opinia Comitetului, din cauza lipsei unei eficacități dovedite, beneficiile Radicava nu depășeau riscurile asociate.

Care au fost motivele invocate de companie pentru retragerea cererii?

În scrisoarea prin care înștiințează agenția cu privire la retragerea cererii, compania a declarat că retragerea are la bază avizul provizoriu al Comitetului referitor la datele din studiu. Scrisoarea de înștiințare cu privire la retragerea cererii este disponibilă [aici](#).

Care sunt consecințele retragerii cererii pentru pacienții din studii clinice sau din programe de uz compasional?

Compania a informat CHMP că retragerea cererii nu are consecințe asupra studiilor clinice în derulare. Compania va continua programele de uz compasional în derulare în așteptarea discuțiilor cu autoritățile naționale care au acordat deja o aprobare de uz compasional.