



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

29. máj 2019  
EMA/293450/2019  
EMA/H/C/004938

## Stiahnutie žiadosti o povolenie na uvedenie na trh pre liek Radicava (edaravón)

Dňa 24. mája 2019 spoločnosť Mitsubishi Tanabe Pharma GmbH oficiálne oznámila Výboru pre lieky na humánne použitie (CHMP) rozhodnutie stiahnuť svoju žiadosť o povolenie na uvedenie lieku Radicava na trh, ktorý sa mal používať na liečbu amyotrofickkej laterálnej sklerózy (ALS).

### Čo je liek Radicava?

Radicava je liek, ktorý obsahuje liečivo edaravón. Liek mal byť dostupný ako infúzny roztok (na kvapkanie do žily).

### Aké bolo predpokladané použitie lieku Radicava?

Liek Radicava sa mal používať na liečbu pacientov s amyotrofickou laterálnou sklerózou (ALS). ALS je ochorenie nervového systému, keď nervové bunky v mozgu a mieche, ktoré riadia mimovoľný pohyb, postupne degenerujú, čo spôsobuje stratu svalovej funkcie a paralýzu.

Liek Radicava sa mal používať na spomalenie zhoršovania ochorenia u pacientov, ktorí sú ešte stále schopní vykonávať bežné každodenné činnosti.

Liek Radicava bol 19. júna 2015 označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia na liečbu ALS. Viac informácií o označení lieku za liek na ojedinelé ochorenia sa nachádza [tu](#).

### Akým spôsobom liek Radicava účinkuje?

Presný spôsob účinku lieku Radicava u pacientov s ALS nie je známy, ale predpokladá sa, že neutralizuje molekuly s obsahom kyslíka známe ako tzv. voľné radikály, ktoré súvisia s poškodzovaním nervov u pacientov s ALS.

### Akou dokumentáciou podložila spoločnosť svoju žiadosť?

Spoločnosť predložila výsledky z jednej hlavnej štúdie so 137 pacientmi s ALS, ktorí dostávali buď liek Radicava, alebo placebo (zdanlivý liek). V štúdiu sa skúmalo, ako sa zmenili príznaky pacientov počas 24 týždňov liečby, s použitím štandardnej hodnotiacej stupnice ALSFRS-R (revidovanej funkčnej



hodnotiacej stupnice ALS). Lekári používajú túto stupnicu nato, aby určili, ako dobre pacienti dokážu hovoriť, dýchať, jesť a vykonávať iné bežné činnosti.

## **V akej fáze hodnotenia bola žiadosť v čase stiahnutia?**

Žiadosť bola stiahnutá potom, ako výbor CHMP vyhodnotil dokumentáciu, ktorú spoločnosť predložila, a sformuloval zoznamy otázok. Potom ako výbor CHMP posúdil odpovede spoločnosti na poslednú sériu otázok, ešte stále zostali niektoré otázky nevyriešené.

## **Aké bolo v tom čase odporúčanie výboru CHMP?**

V čase stiahnutia žiadosti mal výbor CHMP určité výhrady a dospel k predbežnému stanovisku, že liek Radicava nemôže byť povolený.

Výbor konštatoval, že v hlavnej štúdii sa preukázalo značné zlepšenie hodnôt podľa stupnice ALSFRS-R u pacientov, ktorí boli liečení liekom Radicava, v porovnaní pacientmi, ktorí dostávali placebo. Na tejto štúdii sa však zúčastnilo len málo pacientov a dôkazy na potvrdenie zlepšenia v iných dôležitých oblastiach, ako je prežitie, dýchanie a svalová sila, neboli dostatočné.

Okrem toho výbor CHMP podotkol, že medzi týmito dvoma skupinami existovali veľké rozdiely, ktoré mohli ovplyvniť konečný výsledok, ako napríklad skutočnosť, že v skupine liečenej liekom Radicava bolo viac pacientov s menej závažným ochorením. Ak pacienti zo skupiny užívajúcej placebo prešli do skupiny liečenej liekom Radicava, neprejavil sa u nich žiadny viditeľný účinok.

Výbor mal výhrady aj k trvaniu prínosu lieku Radicava a poznamenal, že 24-týždňové obdobie (hraničný bod v hlavnej štúdii) bolo príliš krátke a údaje z predĺženej fázy štúdie nebolo možné jednoznačne interpretovať.

Vzhľadom na jasnú potrebu ďalších dôkazov o účinnosti lieku Radicava výbor zvážil možnosť povolenia s podmienkou, čím by spoločnosť získala čas na predloženie ďalších údajov. Spoločnosť navrhla uskutočniť štúdiu s registrom pacientov, kedy by sa pacienti liečení liekom Radicava porovnávali s pacientmi, ktorí v minulosti dostávali iné lieky na ALS. Výbor uznal prínos takejto štúdie, mal však určité výhrady vrátane skutočnosti, že liečba ALS sa za posledné roky veľmi zmenila, čím sa sťažila porovnateľnosť výsledkov.

Počas hodnotenia sa výbor CHMP obrátil na expertnú odbornú skupinu, aby sa vyjadrila k výsledkom štúdie, navrhovanému registru a populácii pacientov, pre ktorých by liečba liekom Radicava mohla byť prínosná. Výbor CHMP preto v čase stiahnutia žiadosti zastával názor, že vzhľadom na nedostatočne preukázanú účinnosť, prínosy lieku Radicava neprevyšujú jeho riziká.

## **Aké dôvody na stiahnutie žiadosti uviedla spoločnosť?**

Vo svojom liste oznamujúcom agentúre stiahnutie žiadosti spoločnosť uviedla, že dôvody stiahnutia vychádzajú z predbežného stanoviska výboru k údajom zo štúdie. List spoločnosti oznamujúci agentúre stiahnutie žiadosti sa nachádza [tu](#).

## **Aké sú dôsledky stiahnutia žiadosti pre pacientov, ktorí sa zúčastňujú na klinických skúšaní alebo na programoch na použitie lieku v naliehavých prípadoch?**

Spoločnosť informovala výbor CHMP, že stiahnutie nebude mať žiadny vplyv na prebiehajúce klinické skúšanie. Spoločnosť bude pokračovať v prebiehajúcom dialógu o programoch na použitie lieku v naliehavých prípadoch s vnútroštátnymi orgánmi, ktoré už schválili použitie lieku v naliehavých prípadoch.