



Londýn 19. listopadu 2009
Dok. č.: EMA/730064/2009
EMA/H/C/997

**Otázky a odpovědi týkající se doporučení zamítnutí registrace
přípravku
Gemesis
bekaplermin**

Dne 23. července 2009 Výbor pro humánní léčivé přípravky (CHMP) přijal záporné stanovisko ve věci registrace léčivého přípravku Gemesis určeného ke kostní a periodontální regeneraci u dospělých – doporučil registraci tohoto přípravku zamítnout. Žádost o registraci podala společnost BioMimetic Therapeutics Ltd.

Žadatel požádal o přezkoumání stanoviska. Po zvážení odůvodnění této žádosti výbor CHMP opětovně přezkoumal své původní rozhodnutí a dne 19. listopadu 2009 potvrdil zamítnutí registrace.

Co je Gemesis?

Přípravek Gemesis je sada pro implantaci. Sada se skládá z předplněné stříkačky obsahující léčivou látku bekaplermin a kalíšku obsahujícího granule β -trikalciium fosfátu k použití ve formě matrix.

Na co měl být přípravek Gemesis používán?

Přípravek Gemesis měl být používán k regeneraci tkání u dospělých trpících defekty ozubice, včetně defektů okolní kostní tkáně a ústupu dásní.

Jak měl přípravek Gemesis působit?

Léčivá látka v přípravku Gemesis, bekaplermin, je rekombinantní lidský destičkový růstový faktor-BB. Růstové faktory jsou bílkoviny, které stimulují množení buněk. Destičkové růstové faktory působí na buňky, které se podílí na hojení ran. Bekaplermin měl působit stejným způsobem jako lidský destičkový růstový faktor, měl stimulovat růst buněk v kostech a dásních ozubice a napomáhat hojení tkání.

Bekaplermin se vyrábí metodou označovanou jako „technologie rekombinantní DNA“: je vytvářen buňkou, do které byl vložen gen (DNA), díky němuž je schopná produkovat lidský destičkový růstový faktor. Přípravek Gemesis se měl připravovat smícháním roztoku s obsahem bekaplerminu a matrix, který se měl následně aplikovat do defektu ozubice, čímž měl napomáhat hojení.

Jakou dokumentaci předložila společnost výboru CHMP na podporu své žádosti?

Účinky přípravku Gemesis byly nejprve testovány na experimentálních modelech a teprve poté na lidech. Přípravek Gemesis byl srovnáván s matrix podávaným samostatně v rámci jedné hlavní studie zahrnující 180 dospělých s periodontálním onemocněním v pokročilém stadiu. Hlavním měřítkem účinnosti byla změna tzv. úrovně klinického navázání (CAL) po 24 týdnech. Pomocí CAL se měří ztráta podpory zubů v okolní tkáni.

Jaké byly hlavní důvody, na jejichž základě výbor CHMP doporučil registraci zamítnout?

Výbor CHMP zastával názor, že hlavní studie neprokázala účinnost přípravku Gemesis v rámci léčby periodontálních defektů. Výbor CHMP poznamenal, že společnost neměla v dané době dostatek informací o tom, jak silná je vazba bekaplerminu na receptory PDGF, a zároveň dostatečně neprokázala, že přípravek Gemesis používaný v klinických studiích je srovnatelný s přípravkem, který

měl být uveden na trh. Výbor CHMP rovněž vyjádřil obavy ohledně hladiny nečistot přítomných v přípravku.

Výbor CHMP tedy v dané době zastával názor, že přínosy přípravku Gemesis nepřevyšují jeho rizika. Proto doporučil registraci přípravku Gemesis zamítnout. Po přezkoumání svého stanoviska výbor CHMP zamítnutí potvrdil.

Jaké jsou důsledky zamítnutí registrace pro pacienty zařazené do klinických studií nebo do programů, v nichž je přípravek Gemesis podáván v rámci zvláštní léčby z humánních důvodů (na základě principu tzv. compassionate use)?

Společnost informovala výbor CHMP, že v současné době neprobíhají žádné klinické studie přípravku Gemesis ani programy, v nichž by byl tento přípravek podáván v rámci zvláštní léčby z humánních důvodů.