



London, 2009.november.19  
Dok. hiv.: EMA/730064/2009  
EMA/H/C/997

## **Kérdések és válaszok a forgalomba hozatali engedély elutasítására vonatkozó javaslattal kapcsolatban**

### **Gemesis bekaplermin**

2009. július 23-án az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottsága (CHMP) negatív véleményt fogadott el, amelyben felnöttek csontozatának és periodontális (fog környéki) területének a regenerálására szánt Gemesis gyógyszerkészítményre vonatkozó forgalomba hozatali engedély iránti kérelem elutasítását javasolta. Az engedély iránti kérelmet a BioMimetic Therapeutics Ltd nyújtotta be. A kérelmező a vélemény felülvizsgálatát kérte. E kérelem indokainak mérlegelését követően a CHMP felülvizsgálta az eredeti véleményt, és 2009. november 19-én megerősítette a forgalomba hozatali engedély módosítása iránti kérelem elutasítását.

#### **Milyen típusú gyógyszer a Gemesis?**

A Gemesis implantációs készlet. A készlet a bekaplermin hatóanyagot tartalmazó előretöltött fecskendőből és a mátrixot képző  $\beta$ -trikalcium foszfát garnulátumot tartalmazó csészéből áll.

#### **Milyen betegségek kezelésére szánták a Gemesis-t?**

A Gemesis-t felnötteknek szánták a fogazat körüli károsodott szövetek regenerálására, beleértve a körülvevő csontszövetet és fognyaki kopást is.

#### **Milyen hatásmechanizmust vártak a Gemesis-től?**

A Gemesis hatóanyaga, a bekaplermin, rekombináns humán trombocita eredetű növekedési faktor (PDGF). A növekedési faktorok fehérjék, amelyek serkentik a sejtek szaporodását. A trombocita eredetű növekedési faktorok a sebgyógyulásban szerepet játszó sejtekre hatnak. A bekaplermintől ugyanolyan hatásmechanizmust vártak, mint a humán trombocita eredetű növekedési faktortól, a csontszövetben és a fognyaki szövetekben sejtnövekedés gyógyulást elősegítő stimulációját. A bekaplermint a „rekombináns DNS-technológiaként” ismert eljárással állítják elő: egy sejt termeli, amelybe olyan gént (DNS-t) juttattak, melynek hatására képes humán trombocita eredetű növekedési faktort előállítani. A Gemesis-t a bekaplermint tartalmazó oldat mátrixszal való összekeverésével készítették elő, amelyet a sérült területre helyeztek a gyógyulást elősegítésére.

#### **Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a CHMP-nek a kérelem alátámasztására?**

A Gemesis hatását kísérleti modelleken tesztelték, mielőtt embereken próbálták volna ki. A fő vizsgálatban, ahol 180 előrehaladott periodontális betegségben szenvedő felnőtt vett részt, a Gemesis-t kizárólag a mátrixszal hasonlították össze. A hatékonyság fő mértéke a „klinikai kötődési szintben” (CAL) bekövetkezett változás volt 24 hét után. A CAL a fogkönyéki szövet csökkenő tartásának mértéke.

#### **Melyek voltak a főbb aggályok, amelyek alapján a CHMP elutasította a forgalomba hozatali engedély iránti kérelmet?**

A CHMP véleménye szerint a fő vizsgálat nem igazolta, hogy a Gemesis hatékony a periodontális károsodások kezelésében. A CHMP megjegyezte, hogy a vállalat ez idáig nem rendelkezett elegendő

információval arról, hogy milyen erősen kötődik a bekaplermin a PDGF receptorokhoz, és nem igazolta megfelelően azt sem, hogy a klinikai vizsgálatban alkalmazott Gemesis hasonló a forgalmazni kívánt termékkel. A CHMP aggályát fejezte ki a készítményben jelenlévő szennyeződések szintje miatt is.

Ezért a CHMP ekkor azon a véleményen volt, hogy a Gemesis alkalmazásával járó előnyök nem haladják meg a kockázatokat. Ezért a CHMP a Gemesis-re vonatkozó forgalomba hozatali engedély iránti kérelem elutasítását javasolta. A CHMP elutasítását a felülvizsgálat is megerősítette.

**Milyen következményekkel jár az elutasítás azokra a betegekre nézve, akik részt vettek a Gemesis-szel folytatott klinikai tesztekben vagy engedélyezés előtti kezelési programokban?**

A vállalat tájékoztatta a CHMP-t arról, hogy nem zajlanak klinikai vizsgálatok, illetve engedélyezés előtti kezelési programok a Gemesis-szel kapcsolatban.