



Jautājumi un atbildes par ieteikumu atteikt reģistrācijas apliecības izsniegšanu zālēm Gemesis bekaplermīns

Cilvēkiem paredzēto zāļu komiteja (CHMP) 2009. g. 23. jūlijā pieņēma negatīvu atzinumu, iesakot atteikt reģistrācijas apliecības izsniegšanu zālēm *Gemesis*, kas paredzētas kaulu un periodonta (zoba ligzdiņas apvidus) atjaunošanai pieaugušajiem. Reģistrācijas pieteikuma iesniedzējs ir uzņēmums *BioMimetic Therapeutics Ltd.*

Pieteikuma iesniedzējs pieprasīja atzinuma pārskatīšanu. Izvērtējusi šīs prasības pamatojumu, CHMP vēlreiz pārbaudīja sākotnējo atzinumu un 2009. gada 19. novembrī apstiprināja reģistrācijas apliecības izsniegšanas atteikumu.

Kas ir Gemesis?

Gemesis ir implanta komplekts. Komplektā iekļauta pilnšļirce, kas satur aktīvo vielu bekaplermīnu, un trauks, kas satur β -trikalcija fosfāta granulas, ko lieto kā matricu.

Kādam nolūkam bija paredzēts lietot Gemesis?

Gemesis bija paredzēts lietot audu atjaunošanai pieaugušajiem ar periodontālu defektu, tostarp ietverošo kaulaudu defektu un smaganu atkāpšanās ārstēšanai.

Kāda ir paredzamā Gemesis iedarbība?

Gemesis aktīvā viela bekaplermīns ir rekombinants no cilvēka trombocītiem iegūts augšanas faktors (*PDGF*). Augšanas faktori ir olbaltumvielas, kas veicina šūnu vairošanos. No trombocītiem iegūtie augšanas faktori iedarbojas uz šūnām, kas piedalās brūču atveseļošanā. Bija paredzēts, ka bekaplermīns iedarbosies tāpat, kā no cilvēka trombocītiem iegūts augšanas faktors, stimulējot šūnu augšanu kaulaudos un smaganās ap zobiem, kā arī veicinot audu atveseļošanu.

Bekaplermīnu iegūst ar paņēmienu, ko sauc par „rekombinantās DNS tehnoloģiju”: to ražo šūnas, kurās ir ievadīts gēns (DNS), kas nodrošina cilvēka trombocītu atvasinājumu augšanas faktora sintēzi. *Gemesis* bija paredzēts pagatavot, samaisot bekaplermīna šķīdumu ar matricu, iegūto masu ievietojot bojājumā ap zobiem, lai sekmētu dzīšanu.

Kādus dokumentus uzņēmums iesniedza CHMP, lai pamatotu pieteikumu?

Pirms uzsākt pētījumus ar cilvēkiem, *Gemesis* iedarbību pārbaudīja eksperimentālos modeļos. Vienā pamatpētījumā, iesaistot 180 pieaugušos ar progresējušu periodontālu slimību, *Gemesis* salīdzināja ar matricas lietošanu atsevišķi. Galvenais efektivitātes rādītājs bija „klīniskās piesaistīšanās līmeņa” (*CAL*) izmaiņas pēc 24 nedēļām. *CAL* rāda, kāds ir zobus aptverošo audu balsta samazinājums.

Kādas bija CHMP galvenās bažas, kas bija pamatā ieteikumam neizsniegt reģistrācijas apliecību?

CHMP uzskatīja, ka pamatpētījumā nebija pierādīta *Gemesis* efektivitāte periodontālu defektu ārstēšanā. CHMP atzīmēja, ka attiecīgajā brīdī uzņēmumam trūka informācijas, cik stipri bekaplermīns piesaistās *PDGF* receptoriem, un tas nesniedza pietiekamus pierādījumus, ka *Gemesis* lietošana klīniskajos pētījumos būtu salīdzināma ar zālēm, ko paredz laist tirgū. CHMP bija bažas arī par esošo zāļu piemaisījumu līmeni.

Tādēļ tobrīd *CHMP* uzskatīja, ka *Gemesis* sniegtais ieguvums nepārsniedz šo zāļu radīto risku. Tāpēc *CHMP* ieteica atteikt *Gemesis* reģistrācijas apliecības izsniegšanu. *CHMP* atteikums pēc atkārtotas izskatīšanas tika apstiprināts.

Kādas sekas atsaukums radīs pacientiem, kas piedalās *Gemesis* klīniskajā izpētē vai zāļu līdzjutīgas lietošanas programmās?

Uzņēmums paziņoja *CHMP*, ka pacienti pašlaik nepiedalās *Gemesis* klīniskās izpētes vai zāļu līdzjutīgas lietošanas programmās.