



Londyn, dnia 19 listopada 2009 r.  
Nr ref. dok.: EMA/730064/2009  
EMA/H/C/997

**Pytania i odpowiedzi dotyczące zalecenia odmowy przyznania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu preparatu Gemesis bekaplermina**

W dniu 23 lipca 2009 r. Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) wydał negatywną opinię, zalecając odmowę przyznania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu produktu leczniczego Gemesis, przeznaczonego do regeneracji kości i tkanek przyzębia u osób dorosłych. Firmą ubiegającą się o przyznanie pozwolenia na dopuszczenie do obrotu jest BioMimetic Therapeutics Ltd.

Wnioskodawca zwrócił się o ponowne rozpatrzenie opinii. Po rozważeniu podstaw wniosku o ponowne rozpatrzenie opinii, CHMP ponownie rozpatrzył wstępną opinię i w dniu 19 listopada 2009 r. potwierdził odmowę przyznania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu.

**Co to jest Gemesis?**

Gemesis jest zestawem do implantów. Zestaw składa się z napełnianej fabrycznie strzykawką zawierającej substancję czynną bekaplerminę i kubka zawierającego granulki  $\beta$ -fosforanu trójwapniowego do stosowania jako macierz.

**W jakim celu miał być stosowany preparat Gemesis?**

Preparat Gemesis miał być stosowany do regeneracji tkanek u osób dorosłych z ubytkami wokół zębów, w tym ubytkami przyzębia i zanikiem dziąseł.

**Jakie było oczekiwane działanie preparatu Gemesis?**

Substancja czynna preparatu Gemesis, bekaplermina, to rekombinowany ludzki płytkowy czynnik wzrostu (PDGF). Czynniki wzrostu to białka stymulujące komórki do rozmnażania. Czynniki wzrostu pochodzenia płytkowego działają na komórki biorące udział w gojeniu ran. Bekaplermina miała działać w ten sam sposób, co ludzki płytkowy czynnik wzrostu, stymulując wzrost komórek w przyzębiu i dziąsłach oraz pomagając w gojeniu się tkanki.

Bekaplerminę wytwarza się metodą znaną jako „technologia rekombinacji DNA”: jest ona wytwarzana przez komórkę, której wszczepiono gen (DNA) umożliwiający jej wytwarzanie ludzkiego płytkowego czynnika wzrostu. Preparat Gemesis miał być sporządzany poprzez zmieszanie roztworu zawierającego bekaplerminę z macierzą, która miała być następnie nakładana na ubytki w przyzębiu, aby wspomóc gojenie.

**Jaka dokumentacja została przedstawiona przez firmę na poparcie wniosku złożonego do CHMP?**

Zanim rozpoczęto badania z udziałem ludzi, działanie preparatu Gemesis testowano w modelach eksperymentalnych. W jednym badaniu głównym z udziałem 180 osób dorosłych z zaawansowaną chorobą tkanek przyzębia preparat Gemesis porównywano z samą macierzą. Głównym kryterium oceny skuteczności była zmiana klinicznego poziomu przyczepu łącznotkankowego (ang. clinical attachment level – CAL) po 24 tygodniach. CAL jest miarą utraty przyczepności tkanki przyzębia do zębów.

**Jakie były główne zastrzeżenia CHMP, które doprowadziły do zalecenia odmowy przyznania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu?**

CHMP uznał, że nie udało się wykazać w badaniu głównym skuteczności preparatu Gemesis w leczeniu ubytków w tkance przyzębia. CHMP zwrócił uwagę, że firma nie była w tym czasie w posiadaniu wystarczających informacji o mocy wiązania się bekaplerminy z receptorami PDGF i nie wykazała w wystarczający sposób, że preparat Gemesis stosowany w badaniach klinicznych był porównywalny do produktu, który miał być wprowadzony na rynek. CHMP miał również wątpliwości, co do poziomu występujących zanieczyszczeń związanych z produktem.

Na tym etapie CHMP był zatem zdania, że korzyści stosowania preparatu Gemesis nie przewyższają związanego z tym ryzyka. Dlatego też CHMP zalecił odmowę przyznania pozwolenia na dopuszczenie preparatu Gemesis do obrotu. Odmowa CHMP została potwierdzona po ponownym rozpatrzeniu.

**Jakie są skutki odmowy dla pacjentów uczestniczących w badaniach klinicznych lub w „programach współzucia” z użyciem preparatu Gemesis?**

Firma poinformowała CHMP, że nie prowadzi obecnie żadnych badań klinicznych ani „programów współzucia” z zastosowaniem preparatu Gemesis.