



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2015. április 24.
EMA/372537/2015
EMA/H/C/002772

Kérdések és válaszok

A Lympreva-ra (dasziprotimut-T) vonatkozó forgalomba hozatali engedély elutasítása

2015. április 23-án az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottsága (Committee for Medicinal Products for Human Use, CHMP) elfogadta a follikuláris non-Hodgkin limfómában szenvedő betegek kezelésére szánt Lympreva gyógyszer forgalomba hozatali engedélyének megtagadását javasló negatív véleményt.

Az engedély iránti kérelmet a Biovest Europe Ltd. vállalat nyújtotta be. A vállalat a fenti negatív véleménnyről szóló értesítés kézhezvételét követő 15 napon belül kérheti a vélemény felülvizsgálatát.

Milyen típusú gyógyszer a Lympreva?

A Lympreva egy dasziprotimut-T nevű hatóanyagot tartalmazó gyógyszer. Bőr alá adandó szuszpenziós injekció formájában kívánták forgalomba hozni.

Milyen alkalmazásra szánták a Lympreva-t?

A Lympreva-t várhatóan follikuláris non-Hodgkin limfómában – a fehérvérsejtek egy típusát, az úgynevezett „B sejteket” érintő daganatos betegségben – szenvedő felnőttek kezelésére alkalmazták volna. Egy másik, granulocita-makrofág kolónia-stimuláló faktor (GM-CSF) nevű gyógyszerrel együtt történő alkalmazásra szánták. A Lympreva-t olyan betegeknek tervezték adni, akiknél a betegség tünetei egy „indukciós” kezelést követően eltűntek, a daganatos betegség tünetei teljes eltűnésének fenntartása érdekében.

A Lympreva 2006. augusztus 28-án a follikuláris limfóma kezelése tekintetében „ritka betegségek gyógyszere” minősítést kapott. További információ itt található:

[ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).



Milyen hatásmechanizmust várnak a Lympreva-tól?

A Lympreva egy „rák immunterápiás” gyógyszer, olyan gyógyszer, amelyet a beteg immunrendszerének (a szervezet természetes védekező rendszerének) stimulálására szántak, hogy megtámadja és elpusztítsa a rákos sejteket.

A Lympreva-t egyedileg készítik el az egyes betegek számára, saját limfómasejtjeik mintájából. A gyógyszer egy, a beteg limfómasejtjeiben található, a hemocianin nevű molekulához kötődő fehérjéből áll, amely molekula elősegíti az immunrendszer aktiválását a limfómasejtekkel szemben.

A beteg szervezetébe történő befecskendezéskor ezek a limfómaspecifikus fehérjék várhatóan arra ösztönzik az immunrendszer bizonyos komponenseit, hogy támadják meg és pusztítsák el a limfómasejteket.

Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat kérelme alátámasztására?

A vállalat adatokat nyújtott be a tudományos szakirodalomban szereplő kísérleti modellekről.

A vállalat benyújtotta egy összesen 177 olyan, follikuláris limfómában szenvedő felnőtt bevonásával végzett fő vizsgálat eredményeit is, akik reagáltak egy PACE (prednizon, doxorubicin, ciklofoszfamid, etopozid) néven ismert, bevált terápiával végzett indukciós kezelésre, és akiknél nem voltak tünetei a betegségnek. A betegek vagy Lympreva-t kaptak GM-CSF-fel, vagy pedig hemocianint GM-CSF-fel. A fő hatékonysági mutató azon az időn alapult, ameddig a beteg daganatos tüneteinek kiújulása nélkül élt, vagy ameddig meg nem halt.

Melyek voltak a CHMP fő aggályai, amelyek az elutasításhoz vezettek?

A CHMP úgy vélte, hogy a fő vizsgálat kialakításának és elvégzésének módja nem volt megfelelő ahhoz, hogy lehetővé tegye a bizottság számára a gyógyszer előnyének megállapítását. Ezenkívül nem bizonyították a Lympreva hatékonyságát a jelenlegi standard ellátással (az úgynevezett „anti-CD20” terápiákkal) végzett indukciós kezelést követően. A CHMP-nek aggályai merültek fel a gyógyszer gyártásának és minőségellenőrzésének bizonyos aspektusait illetően is.

Ezért a CHMP akkor azt a véleményt fogalmazta meg, hogy a Lympreva előnyei nem haladják meg a kockázatokat, és a forgalomba hozatali engedély kiadásának elutasítását javasolta.

Milyen következményekkel jár az elutasítás azokra a betegekre nézve, akik klinikai vizsgálatokban vagy engedélyezés előtti alkalmazási programokban vesznek részt?

A vállalat tájékoztatta a CHMP-t, hogy a Lympreva-val kapcsolatban jelenleg nincsenek folyamatban klinikai vizsgálatok vagy engedélyezés előtti alkalmazási programok.