



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2018 m. rugsėjo 21 d.
EMA/621972/2018
EMA/H/C/004355

Atsisakymas suteikti Exondys (eteplirseno) registracijos pažymėjimą

Pakartotinio nuomonės nagrinėjimo procedūros rezultatai

2018 m. gegužės 31 d. Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komitetas (CHMP) priėmė neigiamą nuomonę, kurioje rekomenduoja nesuteikti vaistinio preparato Exondys, skirto Diušeno raumenų distrofijos gydymui, registracijos pažymėjimo. 2018 m. birželio 1 d. bendrovė „AVI Biopharma International Ltd“, kuri pateikė paraišką gauti registracijos pažymėjimą, paprašė pakartotinai išnagrinėti priimtą CHMP nuomonę.

Apsvarstęs pagrindžiančias priežastis, CHMP pakartotinai apsvarstė priimtą nuomonę ir 2018 m. rugsėjo 20 d. patvirtino savo rekomendaciją nesuteikti registracijos pažymėjimo.

Kas yra Exondys?

Exondys – tai vaistas, kurio sudėtyje yra veikliosios medžiagos eteplirseno. Vaistą buvo numatyta tiekti koncentrato infuziniam (į veną lašinamam) tirpalui forma.

Kokiais atvejais buvo numatyta vartoti Exondys?

Exondys buvo numatyta gydyti Diušeno raumenų distrofija (DRD) sergančius pacientus nuo 4 metų, kuriems nustatyta DRD geno mutacija (pakitimas), kuri suteikia galimybę taikyti gydymą, susijusį su vadinamuoju 51-o eksono praleidimu. Tai reiškia, kad pacientų DRD genas gali pagaminti veiksmingos formos distrofino baltymą, kai nenaudojama geno dalis, vadinama 51-u eksonu.

Pagal DRD gydymo indikaciją Exondys 2008 m. gruodžio 3 d. buvo priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai. Daugiau informacijos apie vaistų priskyrimą retųjų vaistų kategorijai rasite [čia](#).

Kaip veikia Exondys?

DRD sergančių pacientų organizmas negamina baltymo, vadinamo distrofinu. Šis vaistas suteikia galimybę „praleisti“ 51-ą eksoną ir taip skatina sutrumpėjusios formos distrofino gamybą. Toks



sutrumpėjęs baltymas turėtų veikti panašiai, kaip normalus distrofino baltymas; tai turėtų padėti organizmui kompensuoti trūkstamą distrofina ir palengvinti DRD simptomus.

Kokius dokumentus bendrovė pateikė kartu su paraiška?

Bendrovė pateikė dviejų pagrindinių tyrimų rezultatus; juose dalyvavo 12 DRD sergančių 7–13 metų berniukų, kuriems buvo nustatyta 51-o eksono „praleidimui“ jautri genetinė mutacija. Pirmame tyrime 24 savaites Exondys buvo lyginamas su placebo (preparatu be veikliosios medžiagos), vėliau visi pacientai buvo gydomi Exondys. Pagrindinis veiksmingumo rodiklis buvo atstumo, kurį pacientai pajėgė nueiti per šešias minutes, pokytis po 24 gydymo savaičių.

Antrame tyrime, kuris buvo pirmojo tyrimo tęsinys, dalyvavo tie patys pacientai, kurie visi buvo gydomi Exondys dar 4 metus.

Bendrovė taip pat palygino šių tyrimų rezultatus su įvairiais anksčiau surinktais duomenimis.

Kokios buvo pagrindinės CHMP abejonės, dėl kurių atsisakyta suteikti registracijos pažymėjimą?

CHMP abejonių sukėlė tai, kad atliekant pagrindinį tyrimą, kuriame dalyvavo tik 12 pacientų, Exondys buvo lyginamas su placebo tik 24 savaičių laikotarpi, kuriuo nebuvo nustatyta jokio reikšmingo per 6 minutes nueinamo atstumo skirtumo tarp Exondys ir placebo vartojusių pacientų. Metodai, kurie buvo taikomi pagrindinių tyrimų rezultatams palyginti su anksčiau surinktais duomenimis, neleido pateikti tinkamų vaisto veiksmingumo įrodymų. Komitetas laikėsi nuomonės, kad reikia surinkti daugiau duomenų apie tai, jog taikant gydymą Exondys pagaminami labai nedideli sutrumpėjusio distrofino baltymo kiekiai teikia pacientams svarbią ilgalaikę naudą.

Todėl CHMP laikėsi nuomonės, kad Exondys naudos ir rizikos santykis gydant DRD nenustatytas, ir rekomendavo nesuteikti registracijos pažymėjimo. Pakartotinai išnagrinėjęs priimtą nuomonę, CHMP patvirtino savo rekomendaciją nesuteikti registracijos pažymėjimo.

Kokių pasekmių šis atsisakymas turės pacientams, dalyvaujantiems klinikiuose tyrimuose?

Bendrovė informavo CHMP, kad paraiškos atsiėmimas neturės pasekmių šiuo metu klinikiuose Exondys tyrimuose dalyvaujantiems pacientams.

Jei dalyvaujate klinikiame tyrime ir pageidaujate gauti daugiau informacijos apie Jums taikomą gydymą, kreipkitės į Jus gydantį klinikinio tyrimo gydytoją.