



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

21. september 2018
EMA/621972/2018
EMA/H/C/004355

Zavrnitev vloge za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Exondys (eteplirsen)

Izid ponovnega pregleda

Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP) je v svojem negativnem mnenju z dne 31. maja 2018 priporočil zavrnitev vloge za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Exondys, namenjenim zdravljenju Duchennove mišične distrofije. Družba, ki je vložila vlogo za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom, AVI Biopharma International Ltd, je 1. junija 2018 zahtevala ponoven pregled mnenja odbora CHMP.

Po proučitvi razlogov za to zahtevo je odbor CHMP ponovno pregledal mnenje in 20. septembra 2018 potrdil zavrnitev vloge za pridobitev dovoljenja za promet.

Kaj je zdravilo Exondys?

Zdravilo Exondys vsebuje učinkovino eteplirsen. Na voljo naj bi bilo v obliki koncentrata za pripravo raztopine za infundiranje (kapalne infuzije) v veno.

Za kaj naj bi se zdravilo Exondys uporabljalo?

Zdravilo Exondys naj bi se uporabljalo za zdravljenje Duchennove mišične distrofije (DMD) pri bolnikih, starejših od štirih let, z mutacijo (spremembo) v genu za DMD, ki omogoča zdravljenje s „tehnologijo preskakovanja eksona 51“. To pomeni, da lahko bolnikov gen za DMD izdelava delovno obliko beljakovine distrofin, ko del gena, imenovanega ekson 51, ni v rabi.

Zdravilo Exondys je bilo 3. decembra 2008 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni) za zdravljenje DMD. Več informacij o zdravilih sirotah je na voljo [tukaj](#).

Kako zdravilo Exondys deluje?

Bolniki z DMD ne proizvajajo beljakovine, imenovane distrofin. Zdravilo omogoči preskok eksona 51 in tako spodbudi proizvodnjo krajše oblike distrofina. Ta krajša oblika beljakovine naj bi delovala podobno kot običajni distrofin, tako da telesu pomaga nadomestiti pomanjkanje distrofina, in s tem lajšala simptome DMD.



Katero dokumentacijo je družba predložila v podporo svoji vlogi?

Družba je predložila rezultate dveh glavnih študij, v kateri je bilo vključenih 12 dečkov z DMD, ki so bili stari med 7 in 13 let in so imeli genetsko mutacijo, ki je omogočala preskakovanje eksona 51. V prvi študiji so zdravilo Exondys primerjali s placebom (zdravilom brez učinkovine) prvih 24 tednov, nato pa so vse bolnike zdravili z zdravilom Exondys. Glavno merilo učinkovitosti je bila sprememba razdalje, ki jo je bolnik po 24 tednih zdravljenja lahko prehodil v šestih minutah.

Druga študija je bila podaljšek prve in je vključevala iste bolnike, ki so bili z zdravilom Exondys zdravljeni nadaljnja štiri leta.

Družba je rezultate teh študij primerjala tudi z rezultati iz izbora preteklih podatkov.

Kateri so bili glavni zadržki, zaradi katerih je odbor CHMP predlagal zavrnitev vloge za pridobitev dovoljenja za promet?

Odbor CHMP je izrazil zadržek, da v glavni študiji, v katero je bilo vključenih samo 12 bolnikov, zdravila Exondys niso primerjali s placebom dlje kot 24 tednov in da v njej niso opazili pomembne razlike glede prehojene razdalje v šestih minutah med bolniki, ki so prejeli zdravilo Exondys oziroma placebo. Metode za primerjavo rezultatov glavne študije s preteklimi podatki niso bile zadovoljive za dokazovanje, da je bilo zdravilo učinkovito. Odbor je menil, da so potrebni nadaljnji podatki, ki bi pokazali, da bolniku trajne koristi prinesejo prav majhne količine krajše oblike distrofina, ki so proizvedene kot rezultat zdravljenja z zdravilom Exondys.

Zato je zaključil, da razmerja med koristmi in tveganji zdravila Exondys za zdravljenje DMD ni mogoče določiti, in priporočil zavrnitev vloge za izdajo dovoljenja za promet z zdravilom. Zavrnitev odbora CHMP je bila po ponovnem pregledu potrjena.

Kakšne so posledice zavrnitve vloge za bolnike, ki sodelujejo v kliničnih preskušanjih?

Družba je obvestila odbor CHMP, da zavrnitev nima nobenih posledic za bolnike, ki trenutno sodelujejo v kliničnih preskušanjih zdravila Exondys.

Če ste vključeni v klinično preskušanje in potrebujete več informacij o zdravljenju, se obrnite na zdravnika, ki vam je predpisal zdravljenje.