



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

19. dubna 2012
EMA/CHMP/255106/2012
EMA/H/C/002096

Otázky a odpovědi

Zamítnutí registrace přípravku Folutyn (pralatrexát)

Výsledek přezkoumání

Dne 19. ledna 2012 Výbor pro humánní léčivé přípravky (CHMP) přijal záporné stanovisko ve věci registrace léčivého přípravku Folutyn určeného k léčbě periferního T-buněčného lymfomu, v němž doporučil registraci tohoto přípravku zamítnout. Žádost o registraci podala společnost Allos Therapeutics Limited.

Žadatel požádal o přezkoumání stanoviska. Výbor CHMP poté, co posoudil důvody této žádosti, přezkoumal původní stanovisko a dne 19. dubna 2012 potvrdil zamítnutí registrace.

Co je Folutyn?

Folutyn je léčivý přípravek, který obsahuje léčivou látku pralatrexát. Měl být k dispozici ve formě infuzního roztoku (kapání do žíly).

K čemu měl být přípravek Folutyn používán?

Přípravek Folutyn měl být používán k léčbě dospělých s periferním T-buněčným lymfomem, což je typ nádorového onemocnění bílých krvinek, které se nazývají T-buňky.

Přípravek Folutyn byl označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“ dne 13. dubna 2007 a měl být určen k léčbě periferního T-buněčného lymfomu.

Jak by měl přípravek Folutyn působit?

Pralatrexát je léčivý přípravek ze skupiny „antimetabolitů“. Předpokládá se, že v těle nahrazuje kyselinu listovou a navazuje se na enzym zvaný dihydrofolátreduktáza (DHFR). DHFR je nezbytná pro tvorbu nové DNA, která je nutná pro dělení a množení buněk. Má se za to, že navázáním se na DHFR pralatrexát blokuje aktivitu enzymu, zabraňuje dělení nádorových buněk a nakonec je zabíjí.



Jakou dokumentaci předložila společnost na podporu své žádosti?

Účinky přípravku Folotyn byly nejprve testovány na experimentálních modelech a teprve poté na lidech.

Společnost předložila výsledky jedné hlavní studie zahrnující celkem 115 dospělých s periferním T-buněčným lymfomem, u kterých se lymfom neustále vracel nebo kteří nereagovali na předchozí léčby. Pacientům byl podáván přípravek Folotyn spolu s potravinovými doplňky obsahujícími vitamin B12 a kyselinu listovou (kvůli nahrazení těchto vitaminů, jejichž množství může být během léčby přípravkem Folotyn nedostatečné). Hlavní měřítko účinnosti bylo založeno na poměru pacientů, kteří reagovali na léčbu. Reakce na léčbu byla v rozmezí od zlepšení onemocnění až po úplné vymizení příznaků nádorového onemocnění. V této studii nebyl přípravek Folotyn srovnáván s žádnou další léčbou.

Jaké byly hlavní důvody, na jejichž základě výbor CHMP zamítl registraci?

V lednu 2012 vyjádřil výbor CHMP obavy, že hlavní studie byla navržena takovým způsobem, který výboru neumožňuje posoudit přínos tohoto přípravku, zvláště proto, že přípravek Folotyn nebyl srovnáván s žádnou další léčbou či placebem (léčbou neúčinným přípravkem) u jiné skupiny pacientů. U pacientů navíc nebylo zaznamenáno jasné zlepšení, jelikož studie zkoumala reakci pacientů na léčbu, ale neumožňovala výboru dále posoudit účinek na celkové přežití (jak dlouho pacienti přežívali) nebo přežití bez progresu (jak dlouho pacienti přežívali bez zhoršení onemocnění). Výbor CHMP byl toho názoru, že neexistují dostatečné důkazy pro stanovení přínosů přípravku Folotyn v rámci léčby periferního T-buněčného lymfomu. Výbor CHMP tedy v dané době dospěl k názoru, že přínosy přípravku Folotyn nepřevyšují jeho rizika, a proto doporučil zamítnout jeho registraci.

Obavy výboru CHMP nevymizely ani při přezkoumání v dubnu 2012. Výbor vzal v úvahu zvláště skutečnost, že údaje předložené žadatelem nebyly dostatečné pro stanovení přínosů přípravku Folotyn v rámci léčby periferního T-buněčného lymfomu. Výbor CHMP proto potvrdil své původní záporné stanovisko.

Jaké jsou důsledky zamítnutí registrace pro pacienty zařazené do klinických studií nebo do programů, v nichž je přípravek Folotyn podáván v rámci léčby z humanitních důvodů (na základě principu tzv. compassionate use)?

Společnost informovala výbor CHMP, že toto zamítnutí nemá žádné důsledky pro pacienty, kteří jsou v současné době zařazení do klinických studií nebo do programů, v nichž je přípravek Folotyn podáván v rámci léčby z humanitních důvodů. Pokud jste zařazení do klinické studie nebo do programu, v němž je přípravek Folotyn podáván v rámci léčby z humanitních důvodů, a potřebujete získat více informací o své léčbě, kontaktujte lékaře, který vám přípravek podává.

Shrnutí stanoviska k přípravku Folotyn vydaného Výborem pro léčivé přípravky pro vzácná onemocnění je k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/Find/medicine/HumanMedicines/RareDiseaseDesignation.