



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2012 m. balandžio 19 d.  
EMA/CHMP/255106/2012  
EMA/H/C/002096

## Klausimai ir atsakymai

---

# Rekomendacija nesuteikti Folutyn (pralatreksato) rinkodaros teisės

## Pakartotinio nuomonės svarstymo rezultatai

2012 m. sausio 19 d. Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komitetas (CHMP) priėmė neigiamą nuomonę, kurioje rekomenduojama nesuteikti periferinei T ląstelių limfomai gydyti skirto vaistinio preparato Folutyn rinkodaros teisės. Paraišką dėl rinkodaros teisės suteikimo pateikė bendrovė „Allos Therapeutics Limited“.

Pareiškėjas pateikė prašymą pakartotinai apsvarstyti priimtą nuomonę. Išnagrinėjęs šio prašymo pagrindą, CHMP pakartotinai apsvarstė pirminę nuomonę ir 2012 m. balandžio 19 d. patvirtino savo rekomendaciją nesuteikti rinkodaros teisės.

## Kas yra Folutyn?

Folutyn – tai vaistas, kurio sudėtyje yra veikliosios medžiagos pralatreksato. Jį buvo numatyta tiekti infuzinio (į veną lašinamo) tirpalo forma.

## Kokiais atvejais buvo numatyta vartoti Folutyn?

Folutyn buvo numatyta gydyti suaugusiuosius, sergančius periferine T ląstelių limfoma – baltųjų kraujo kūnelių, vadinamų T ląstelėmis, vėžiu.

Pagal periferinės T ląstelių limfomos gydymo indikaciją preparatas Folutyn buvo priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai 2007 m. balandžio 13 d.

## Kokio tikimasi Folutyn veikimo?

Pralatreksatas yra antimetabolitinis vaistas. Tikimasi, kad patekęs į organizmą jis užims folio rūgšties vietą ir jungsis prie fermento, vadinamo dihidrofolato reduktaze. Dihidrofolato reduktazė būtina naujos DNR gamybai, o jos reikia tam, kad ląstelės galėtų dalytis ir daugintis. Tikimasi, kad prisijungęs prie



dihydrofolato reduktazės, pralatreksatas blokuos šio fermento veikimą, neleisdamas vėžinėms ląstelėms dalytis ir galiausiai sukeldamas jų žūtį.

## **Ką bendrovė pateikė kartu su paraiška?**

Pirmiausia preparato Folotyn poveikis buvo išbandytas su eksperimentiniais modeliais ir tik tada buvo tiriamas jo poveikis žmonėms.

Bendrovė pateikė vieno pagrindinio tyrimo rezultatus; jame dalyvavo 115 suaugusiųjų, sergančių periferine T ląstelių limfoma, kuri vis atsinaujindavo arba nereagavo į ankstesnius gydymo būdus. Pacientai Folotyn vartojo kartu su vitaminu B12 ir folio rūgšties papildais (siekiant kompensuoti šių vitaminų trūkumą, kuris gali pasireikšti taikant gydymą Folotyn). Pagrindinis rodiklis, į kurį atsižvelgta vertinant vaistinio preparato veiksmingumą, buvo pacientų, kuriems gydymas buvo veiksmingas, dalis. Pacientams pasireiškė įvairus gydymo poveikis – nuo ligos sukeltų simptomų palengvėjimo iki visiško vėžio požymių išnykimo. Atliekant šį tyrimą, Folotyn nebuvo lyginamas su kitomis gydymo priemonėmis.

## **Kokios buvo pagrindinės CHMP abejonės, dėl kurių jis rekomendavo nesuteikti rinkodaros teisės?**

2012 m. sausio mėn. CHMP rūpestį sukėlė tai, kad dėl pagrindinio tyrimo modelio komitetas negalėjo įvertinti vaisto naudos, visų pirma dėl to, kad Folotyn nebuvo lyginamas su kitos pacientų grupės vartojamomis kitomis gydymo priemonėmis ar placebo (preparatu be veikliosios medžiagos). Be to, CHMP nenustatė jokio akivaizdaus pacientų būklės pagerėjimo, nes nors atliekant tyrimą buvo analizuojamas gydymo poveikis pacientams, pagal tyrimo duomenis komitetas negalėjo įvertinti vaistinio preparato poveikio bendram pacientų išgyvenamumui (gyvenimo trukmei) arba išgyvenimo trukmei ligai neprogresavus (gyvenimo nepablogėjus ligos simptomams). CHMP laikėsi nuomonės, kad pateikta nepakankamai įrodymų pagal periferinės T ląstelių limfomos gydymo indikaciją vartojamo Folotyn naudai įrodyti. Todėl tuo metu CHMP laikėsi nuomonės, kad Folotyn teikiama nauda nėra didesnė už jo keliamą riziką ir rekomendavo nesuteikti jo rinkodaros teisės.

2012 m. balandžio mėn. pakartotinai svarstant priimtą nuomonę, CHMP rūpestį kėlė klausimai nebuvo išspręsti. Visų pirma komitetas laikėsi nuomonės, kad pareiškėjo pateiktų duomenų nepakanka pagal periferinės T ląstelių limfomos gydymo indikaciją vartojamo Folotyn naudai įrodyti. Todėl CHMP patvirtino savo pirminę neigiamą nuomonę.

## **Kokių pasekmių ši rekomendacija nesuteikti rinkodaros teisės turės pacientams, dalyvaujantiems klinikiniuose tyrimuose arba labdaringo vartojimo programose?**

Bendrovė pranešė CHMP, kad pacientams, šiuo metu dalyvaujantiems klinikiniuose tyrimuose arba preparato Folotyn labdaringo vartojimo programose, rekomendacija nesuteikti rinkodaros teisės neturės jokių pasekmių. Jeigu dalyvaujate klinikiniame tyrime arba labdaringo vartojimo programoje ir pageidaujate gauti daugiau informacijos apie Jums taikomą gydymą, kreipkitės į Jus gydantį gydytoją.

Retųjų vaistinių preparatų komiteto nuomonės apie Folotyn santrauką rasite agentūros interneto svetainėje adresu: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).