



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

18 de marzo de 2010  
EMA/265132/2010  
EMA/H/C/1115

## Preguntas y respuestas

---

# Retirada de la solicitud de autorización de comercialización para Tyvaso (treprostinilo sódico)

El 17 de febrero de 2010, United Therapeutics Europe Ltd. notificó oficialmente al Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) que deseaba retirar su solicitud de autorización de comercialización de Tyvaso, que iba a utilizarse como tratamiento «complementario» de los pacientes con hipertensión arterial pulmonar.

## ¿Qué es Tyvaso?

Tyvaso es un medicamento que contiene el principio activo treprostinilo sódico. Iba a presentarse en forma de solución para inhalación por nebulizador.

## ¿A qué uso estaba destinado Tyvaso?

Tyvaso iba a utilizarse para tratar a pacientes con hipertensión arterial pulmonar (HAP) con el fin de mejorar su capacidad para realizar esfuerzos (la capacidad para realizar una actividad física). La HAP es una presión anormalmente elevada en las arterias de los pulmones.

Tyvaso también iba a usarse en pacientes con HAP clasificada en la «clase funcional III de la New York Heart Association» que estaban recibiendo además un «antagonista del receptor de la endotelina» o un «inhibidor de la fosfodiesterasa 5» (otros medicamentos para la HAP). La clase refleja la gravedad de la HAP: la clase III implica una limitación acusada de la actividad física. Tyvaso iba a administrarse por inhalación, de forma que el paciente aspirase el medicamento directamente hasta los pulmones.

Tyvaso fue designado «medicamento huérfano» (un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 14 de abril de 2004 para la hipertensión arterial pulmonar.

## ¿Cómo está previsto que actúe Tyvaso?

La HAP es una enfermedad debilitante que se caracteriza por un notable estrechamiento de los vasos sanguíneos de los pulmones. El resultado es un aumento de la presión en los vasos que transportan la sangre desde el corazón hasta los pulmones. Esta presión disminuye la cantidad de oxígeno que puede entrar en la sangre, lo que dificulta la realización de actividades físicas.



El principio activo de Tyvaso, el treprostinilo sódico, es un análogo de las prostaciclina, unas moléculas naturales que provocan la dilatación de los vasos sanguíneos. Se prevé que, tras su inhalación, el treprostinilo sódico provoque la dilatación de los vasos sanguíneos de los pulmones, lo que podría aliviar la elevación anormal de la presión en las arterias pulmonares.

### **¿Qué presentó la empresa en apoyo de su solicitud?**

Dado que en Europa se comercializan medicamentos que contienen treprostinilo desde 2005, la empresa utilizó algunos datos de estos fármacos en apoyo de su solicitud para Tyvaso. La empresa presentó los resultados de un estudio principal realizado en 235 pacientes con HAP que recibían además un antagonista del receptor de la endotelina o un inhibidor de la fosfodiesterasa 5. Se administró a los pacientes tratamiento complementario con Tyvaso o con un placebo (un medicamento ficticio). El criterio principal para evaluar la eficacia fue la variación de la distancia que podían caminar los pacientes en seis minutos al cabo de 12 semanas de tratamiento.

### **¿En qué fase se encontraba la evaluación de la solicitud cuando fue retirada?**

La solicitud se encontraba en fecha posterior al «día 181». Esto significa que el CHMP había evaluado la documentación presentada por la empresa y formulado una lista de preguntas. Una vez que el CHMP hubo evaluado las respuestas de la empresa a la última serie de preguntas, aún quedaban algunas cuestiones pendientes.

### **¿Qué recomendaba el CHMP en ese momento?**

Estudiada la documentación y las respuestas de la empresa a la lista de preguntas del CHMP, en el momento de la retirada el CHMP tenía algunas reservas. La más importante era que las inspecciones de dos centros en los que se llevó a cabo el estudio principal revelaron que el estudio no se había realizado en cumplimiento de la «buena práctica clínica» (BPC). En consecuencia, se estimaba que los resultados del estudio no eran fiables y el CHMP consideraba que el medicamento no hubiera podido aprobarse basándose en los datos presentados por la empresa.

### **¿Cuáles fueron las razones aducidas por la empresa para retirar su solicitud?**

El escrito de retirada remitido por la empresa a la EMEA puede encontrarse [aquí](#).

### **¿Qué consecuencias tiene esta retirada para los pacientes que participan en los ensayos clínicos / programas de uso compasivo?**

La empresa informó al CHMP de que, en el momento de la retirada, se estaba realizando un ensayo clínico en Europa y de que Tyvaso se estaba suministrando además en un programa de uso compasivo en un centro especializado de Alemania. Se continuará con el tratamiento de estos pacientes hasta que se obtengan otros tratamientos alternativos.

El resumen del dictamen del Comité de Medicamentos Huérfanos sobre Tyvaso puede encontrarse [aquí](#).