

TEAVE MÜÜGILOA TAOTLUSE TAGASIVÕTMISE KOHTA**IPLEX**Rahvusvaheline mittekaubanduslik nimetus (INN): **mekasermiinrinfabaat**

26. märtsil 2007 teavitas Insmad Europe Ltd ametlikult inimtervishoius kasutatavate ravimite komiteed oma soovist võtta tagasi taotlus IPLEXi müügiloa saamiseks kasvuhormooni suhtes primaarse insensitiivsusega patsientide raviks ja kasvuhormooni geeni deletsiooniga patsientide raviks, kellel on tekkinud neutraliseerivad antikehad kasvuhormoonile.

Mis on IPLEX?

IPLEX on süstelahus, mis sisaldab toimeainena 60 mg/ml mekasermiinrinfabaati.

Milleks kavatseti IPLEXi kasutada?

IPLEXi kavatseti kasutada lühikest kasvu lastel, kelle kehal on kasvuhormooniga probleeme, sest:

- neil on hormooni suhtes primaarne insensitiivsus, mistõttu süstitav kasvuhormoon ei avalda toimet. Primaarne tähendab, et insensitiivsuse põhjus ei ole teada;
- nad ei ole suutelised kasvuhormooni produtseerima ja on varem kasvuhormooni saanud, kuid neil on tekkinud neutraliseerivad antikehad – teatud valgud, mis võivad süstitud kasvuhormooni toime välistada.

Kuna nimetatud haigustega patsiente on vähe ja need haigused haruldased, omistati mekasermiinrinfabaadile 20. juunil 2006 harva kasutatava ravimi nimetus.

Missugune on IPLEXi eeldatav toime?

IPLEXis toimeainena sisalduv mekasermiinrinfabaat on binaarvalk, mis koosneb kahest kehas tavapäraselt moodustuvast valgust: insuliinisarnasest kasvutegurist I (IGF-I) ja insuliinisarnase kasvuteguriga seonduvast valgust 3 (IGFBP-3). Mekasermiinrinfabaati toodetakse rekombinant-DNA-tehnika nimetataval meetodil: seda toodavad bakterid, millesse on viidud selle produtseerimist võimaldav geen (DNA).

Looduslik kasvuhormoon edendab kehas lapse kasvu, stimuleerides keha IGF-I-i produtseerima. IGF-I omakorda stimuleerib luude kasvu. IPLEXiga manustatakse vahetult IGF-I-d, osana binaarvalgust, ning see võimaldab kasvuhormooni enda vajadusest mööda minna. IGF-I on IPLEXis seonduv IGFBP-3-ga, kuna see matkib IGF-I kehas edasikandumise viisi. See võimaldab IGF-I-l ringelda kehas suuremas koguses ja kauem kui sidumata IGF-I-l.

Millised dokumendid ettevõtte inimtervishoius kasutatavate ravimite komiteele oma taotluse toetuseks esitas?

Enne inimuuringuid kontrolliti IPLEXi toimet muude katsetega. Selle efektiivsust uuriti ühes kiinilises uuringus, mis ei ole veel lõpule viidud. Uuringus osalevale 27 lapsele (3–15-aastased) on manustatud IPLEXi kuni ühe aasta jooksul. Efektiivsust mõõdeti põhiliselt kasvu kiiruse järgi uuringu ajal, võrreldes kasvu kiirusega uuringu algusele eelnenud aastal.

Millises järgus oli müügiloa taotluse hindamine, kui see tagasi võeti?

Taotluse menetlemine oli 120. päeva seisus, kui ettevõtte taotluse tagasi võttis. Inimtervishoius kasutatavate ravimite komitee oli ettevõttele vastamiseks koostanud küsimuste loetelu, kuid ettevõtte ei olnud neile veel vastanud.

Uue taotluse hindamiseks kulub inimtervishoius kasutatavate ravimite komiteel enamasti kuni 210 päeva. Esmaste dokumentide analüüsi tulemuste põhjal koostab inimtervishoius kasutatavate ravimite komitee 120. päeval küsimuste loetelu, mis saadetakse ettevõttele. Pärast seda, kui ettevõtte on esitanud küsimustele vastanud, vaatab inimtervishoius kasutatavate ravimite komitee need läbi ning võib enne oma arvamuse väljendamist esitada ettevõttele 180. päeval veel täiendavaid küsimusi. Pärast inimtervishoius kasutatavate ravimite komitee arvamust kulub Euroopa Komisjonil müügiloa väljastamiseks tavaliselt ligikaudu kaks kuud.

Milline oli sel ajal inimtervishoius kasutatavate ravimite komitee soovitus?

Tuginedes läbivaadatud andmetele, nägi inimtervishoius kasutatavate ravimite komitee taotluse tagasivõtmise ajal mõningaid probleeme ning oli esialgsel arvamusel, et IPLEXi ei saa primaarse insensitiivsusega patsientide ega kasvuhormooni geeni deletsiooniga patsientide, kellel on tekkinud kasvuhormoonile neutraliseerivad antikehad, raviks heaks kiita.

Mis oli inimtervishoius kasutatavate ravimite komitee ettevaatlikkuse peamiseks põhjuseks?

Inimtervishoius kasutatavate ravimite komitee nägi peamist probleemi ravimi tootmise viisis ning komitee ei saanud olla kindel, et turule toodav ravim on võrreldav kliinilises uuringus kasutatud ravimiga. Samuti nägi komitee olulist probleemi selles, kuidas ravimi efektiivsust oli hinnatud, eelkõige seoses kliinilise uuringusse kaasatud patsientide valikuga. Patsiente poldud ravitud ka piisavalt kaua tõendamaks, et ravimi toime püsib, kui seda kasutada kauem kui üks aasta.

Seetõttu oli inimtervishoius kasutatavate ravimite komitee taotluse tagasivõtmise ajal arvamusel, et IPLEXi kasulikkus pole piisavalt tõestatud ja ei kaalu üles tuvastatud ohte.

Mis põhjustel ettevõtte taotluse tagasi võttis?

Ettevõtte taotluse tagasivõtmise avaldus on avaldatud EMEA veebilehel ja on kättesaadav [siin](#).

Millised on taotluse tagasivõtmise tagajärjed IPLEXi kliinilistes uuringutes või eriloaga kasutamise programmides osalevatele patsientidele?

Ettevõtte teavitas inimtervishoius kasutatavate ravimite komiteed, et tagasivõtmine ei mõjuta pooleliolevat kliinilist uuringut IPLEXi ohutuse ja efektiivsuse kohta kasvuhormooni suhtes insensitiivsuse sündroomi ravis.

Juhul kui te osalete kliinilises uuringus või selle ravimi eriloaga kasutamise programmis ja soovite oma ravi kohta lisateavet, võtke palun ühendust arstiga, kes teile selle ravi määras.