



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

13. studenoga 2020.
EMA/594092/2020
EMA/H/C/005123

Povlačenje zahtjeva za izdavanje odobrenja za stavljanje u promet lijeka Puldysa (idebenon)

Tvrtka Santhera Pharmaceuticals (Deutschland) GmbH povukla je svoj zahtjev za izdavanje odobrenja za stavljanje u promet lijeka Puldysa za liječenje Duchenneove mišićne distrofije.

Tvrtka je povukla zahtjev 28. listopada 2020.

Što je Puldysa i za što se trebao koristiti?

Lijek Puldysa razvijen je za liječenje pogoršanja disanja u bolesnika s Duchenneovom mišićnom distrofijom koji ne primaju kortikosteroide.

Lijek sadrži djelatnu tvar idebenon i trebao je biti dostupan u obliku filmom obloženih tableta koje se uzimaju na usta.

Razvijen kao „hibridni lijek”. To znači da je trebao biti sličan „referentnom lijeku” koji sadrži istu djelatnu tvar i već je odobren u Europskoj uniji. Referentni lijek je Mnesis, koji je u Italiji odobren za liječenje glaukoma.

Lijek Puldysa uvršten je na popis lijekova za rijetke bolesti 20. ožujka 2007. za Duchenneovu mišićnu distrofiju. [Ovdje](#) možete pronaći dodatne informacije o uvrštenju lijekova za rijetke bolesti.

Kako djeluje Puldysa?

Djelatna tvar lijeka Puldysa, idebenon, antioksidans je koji djeluje na mitohondrije (strukture u stanicama koje proizvode energiju potrebnu za staničnu aktivnost). U bolesnika s Duchenneovom mišićnom distrofijom mitohondriji ne funkcioniraju ispravno i stvaraju otrovne oblike kisika koji oštećuju mišićne stanice. Smatra se da idebenon pomaže u poboljšanju stvaranja energije tako što obnavlja funkciju mitohondrija i time sprječava oštećenje stanica i gubitak mišićne funkcije, uključujući i mišića koji pospješuju disanje.

Idebenon je odobren u EU-u i za liječenje kognitivnih nedostataka, nedostataka u ponašanju, Friedreichove ataksije i Leberove nasljedne neuropatije vidnog živca.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Što je tvrtka dostavila u prilog svom zahtjevu?

Tvrtka je dostavila rezultate iz triju glavnih ispitivanja koja su obuhvaćala bolesnike s Duchenneovom mišićnom distrofijom koji nisu primali kortikosteroide. U dva je ispitivanja lijek Puldysa uspoređen s placebom (prividnim liječenjem), a učinkovitost je mjerena poboljšanjem funkcije pluća ili promjenom PEF-a (vršnog protoka pri izdisaju koji je pokazatelj funkcije disanja) nakon godinu dana terapije. U trećem su ispitivanju bolesnici na terapiji lijekom Puldysa praćeni duže kako bi se utvrdilo jesu li učinci na disanje održani.

U kojoj je fazi bila procjena zahtjeva kada je povučen?

Zahtjev je povučen nakon što je Europska agencija za lijekove procijenila informacije koje je tvrtka dostavila i sastavila popis pitanja za tvrtku. Nakon što je Agencija procijenila odgovore tvrtke na posljednji niz pitanja, još su uvijek postojale neke nedoumice.

Koja je bila preporuka Agencije u tom trenutku?

Na temelju pregleda podataka i odgovora tvrtke na pitanja Agencije, u trenutku povlačenja zahtjeva Agencija je smatrala da postoje razlozi za zabrinutost te je njezino privremeno mišljenje bilo da nije moguće izdati odobrenje za lijek Puldysa za liječenje pogoršanja funkcije disanja u bolesnika s Duchenneovom mišićnom distrofijom koji ne uzimaju kortikosteroide.

Agencija je smatrala da poboljšanje funkcije pluća nije bilo konzistentno u ispitivanjima te nije bilo jasno može li se dugoročno održati.

Stoga je u vrijeme povlačenja zahtjeva mišljenje Agencije bilo da koristi od lijeka Puldysa ne nadmašuju s njim povezane rizike.

Koje je razloge za povlačenje zahtjeva navela tvrtka?

U svom [dopisu](#) kojim obavještava Agenciju o povlačenju zahtjeva, tvrtka je navela da svoj zahtjev povlači nakon obustavljanja glavnog ispitivanja u tijeku koje je trebalo pružiti dodatne dokaze o djelovanju lijeka Puldysa na Duchenneovu mišićnu distrofiju jer nije moglo ispuniti očekivane ciljeve.

Ima li ovo povlačenje zahtjeva posljedice za bolesnike u kliničkim ispitivanjima ili u programima milosrdnog davanja lijekova?

Tvrtka je obavijestila Agenciju da obustavlja sva klinička ispitivanja i programe milosrdnog davanja lijeka Puldysa za liječenje Duchenneove mišićne distrofije. Liječnici koji vode klinička ispitivanja kontaktirat će s bolesnicima da s njima dogovore konačne kontrolne preglede.

Ako sudjelujete u kliničkom ispitivanju ili programu milosrdnog davanja lijekova te su vam potrebne dodatne informacije, obratite se liječniku koji vodi dotično kliničko ispitivanje.