



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

24. lipnja 2016.  
EMA/430531/2016  
EMA/H/C/003846

## Pitanja i odgovori

---

# Povlačenje zahtjeva za davanje odobrenja za stavljanje u promet lijeka Kyndrisa (drisapersen)

Dana 31. svibnja 2016. tvrtka BioMarin International Limited službeno je obavijestila Odbor za lijekove za humanu uporabu (CHMP) da želi povući svoj zahtjev za odobrenje za stavljanje u promet lijeka Kyndrisa za liječenje Duchenneove mišićne distrofije.

## Što je Kyndrisa?

Kyndrisa je lijek koji sadrži djelatnu tvar drisapersen. Lijek je trebao biti dostupan u obliku otopine za potkožnu injekciju.

## Za što se lijek Kyndrisa trebao koristiti?

Lijek Kyndrisa trebao se koristiti za liječenje Duchenneove mišićne distrofije u bolesnika u dobi od 5 ili više godina koji mogu hodati i čija je bolest uzrokovana određenim genskim mutacijama (oštećenjima) koje se mogu liječiti „tehnologijom preskakanja egzona 51“. Duchenneova mišićna distrofija teška je genska bolest koja većinom pogađa dječake i za koju se dijagnoza obično uspostavlja prije navršene 6. godine. Ta bolest uzrokuje progresivno slabljenje i gubitak funkcije mišića i obično dovodi do smrti u adolescenciji ili ranoj odrasloj dobi.

Lijek Kyndrisa označen je kao lijek za liječenje rijetkih bolesti 27. veljače 2009. za liječenje Duchenneove mišićne distrofije. [Ovdje](#) možete pronaći dodatne informacije o lijekovima za rijetke bolesti.

## Kako je lijek Kyndrisa trebao djelovati?

Duchenneovu mišićnu distrofiju uzrokuju mutacije gena za protein distrofin koje dovode do proizvodnje nedjelotvornog distrofina. Lijek djeluje s pomoću „tehnologije preskakanja egzona 51“. Ta tehnologija



omogućuje da stanični aparat za izradu proteina preskoči određena područja gena distrofina i omogući proizvodnju skraćenog, ali djelomično funkcionalnog proteina distrofina.

## **Što je tvrtka dostavila da bi poduprla zahtjev?**

Lijek Kyndrisa ispitan je u okviru triju ispitivanja na ukupno 290 bolesnika s Duchenneovom mišićnom distrofijom. U ispitivanjima su učinci lijeka Kyndrisa uspoređeni s placebom (slijepo liječenje), a glavno mjerilo djelotvornosti bila je promjena u udaljenosti koju bolesnik može prohodati u roku od šest minuta nakon 24 tjedna ili 48 tjedana liječenja.

## **U kojoj je fazi bila ocjena zahtjeva kada je povučen?**

Zahtjev je povučen nakon što je CHMP ocijenio inicijalnu dokumentaciju koju je tvrtka dostavila i sastavio popise pitanja. Nakon što je CHMP ocijenio odgovore proizvođača na posljednji popis pitanja, još su uvijek postojala neka važna neriješena pitanja.

## **Koja je bila preporuka CHMP-a u tom trenutku?**

Na temelju pregleda podataka te odgovora tvrtke na popise pitanja CHMP-a, u trenutku povlačenja CHMP je smatrao da postoje razlozi za zabrinutost i bio je privremenog mišljenja da nije moguće dati odobrenje za lijek Kyndrisa za liječenje Duchenneove mišićne distrofije.

Odbor je smatrao da podaci iz kliničkih ispitivanja ne dokazuju u dovoljnoj mjeri da postoje korisni učinci lijeka Kyndrisa. U glavnom se ispitivanju nije pokazala nikakva korist u bolesnika s tim stanjem, dok se u drugim dvama ispitivanjima korisnost lijeka nije uspjela dokazati na dosljedan način. Nadalje, sigurnosni profil lijeka nije se smatrao zadovoljavajućim, osobito zbog rizika od dugotrajnih reakcija na mjestu ubrizgavanja (kao što su oticanje, upala i ulceracije), što bi moglo negativno utjecati na kvalitetu života, te zbog rizika od trombocitopenije (niskog broja trombocita), zbog čega bolesnici mogu biti u opasnosti od teških komplikacija povezanih s krvarenjem. Osim toga, Odbor je doveo u pitanje predloženu metodu sterilizacije lijeka.

Sukladno navedenom, u vrijeme povlačenja CHMP je smatrao da koristi od lijeka Kyndrisa ne nadmašuju s njim povezane rizike.

## **Koje je razloge za povlačenje zahtjeva navela tvrtka?**

U svom dopisu kojim obavješćuje Agenciju o povlačenju zahtjeva tvrtka je navela da ne može odgovoriti na probleme za koje CHMP smatra da postoje u vezi s rezultatima kliničkih ispitivanja u očekivanom roku.

Dopis o povlačenju dostupan je [ovdje](#).

## **Koje posljedice ima ovo povlačenje za pacijente u kliničkim ispitivanjima ili u programima milosrdnog davanja lijekova?**

Tvrtka je navela da namjerava prekinuti razvoj lijeka, ali da namjerava, u suradnji s liječnicima, bolesnicima i lokalnim regulatornim tijelima, bolesnicima koji se trenutačno liječe omogućiti pristup preostalim zalihama lijeka Kyndrisa.

Ako sudjelujete u kliničkom ispitivanju te vam je potrebno više informacija o liječenju, obratite se liječniku koji vam daje terapiju.