



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

A Puldysa-ra (idebenon) vonatkozó forgalombahozatali engedély iránti kérelem visszavonása

A Santhera Pharmaceuticals (Deutschland) GmbH visszavonta a Duchenne-féle izomsorvadás kezelésére szánt Puldysa-ra vonatkozó forgalombahozatali engedély iránti kérelmét.

A vállalat 2020. október 28-án vonta vissza a kérelmet.

Milyen típusú gyógyszer a Puldysa és milyen alkalmazásra szánták?

A Puldysa-t Duchenne-féle izomsorvadásban szenvedő, kortikoszteroidokat nem kapó betegeknél a romló tüdőfunkció kezelésére fejlesztették ki.

A gyógyszer hatóanyagként idebenont tartalmaz, és szájon át szedendő filmtabletta formájában került volna forgalomba.

A Puldysa-t „hibrid gyógyszerként” fejlesztették ki. Ez azt jelenti, hogy a Puldysa-t egy, az Európai Unióban már engedélyezett „referencia-gyógyszerhez” hasonlónak szánták, amely ugyanazt a hatóanyagot tartalmazza. A referencia-gyógyszer a Mnesis, Olaszországban a glaukóma kezelésére engedélyezett gyógyszer.

A Puldysa-t 2007. március 20-án a Duchenne-féle izomsorvadás tekintetében „ritka betegség elleni gyógyszerre” minősítették. A ritka betegség elleni gyógyszerre minősítésről további információ [itt](#) található.

Hogyan fejti ki hatását a Puldysa?

A Puldysa hatóanyaga, az idebenon egy antioxidáns, amely a mitokondriumokra hat (ezek a sejt belsejében található struktúrák, amelyek a sejt működéséhez szükséges energiát termelik). A Duchenne-féle izomsorvadásban szenvedő betegeknél a mitokondriumok nem működnek megfelelően és az oxigén mérgező formáit termelik, amelyek károsítják az izomsejteket. Az idebenon vélhetően azáltal segít javítani az energiatermelést, hogy visszaállítja a mitokondriális funkciót, így megakadályozza a sejtkárosodást és az izomfunkció-vesztést (ideértve a légzőizmok funkcióvesztését is).

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



Az idebenon az Európai Unióban a kognitív és viselkedési deficitek, a Friedreich-ataxia és a Leber-féle örökítő optikus neuropátia kezelésére is engedélyezett.

Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a kérelem alátámasztására?

A vállalat három fő vizsgálat eredményeit nyújtotta be, amelyeket Duchenne-féle izomsorvadásban szenvedő, kortikoszteroidokkal nem kezelt betegekkel végeztek. Két vizsgálatban a Puldysa-t placebóval (hatóanyag nélküli kezelés) hasonlították össze, és a hatékonyságot a tüdőfunkció javulásával vagy a PEF (kilégzési csúcsáramlás, a légzésfunkció indikátora) változásával mérték egy év kezelés után. A harmadik vizsgálatban a Puldysa-val kezelt betegeket hosszabb ideig megfigyelés alatt tartották annak megállapítása érdekében, hogy a légzésre kifejtett hatás fennmarad-e.

A visszavonás előtt meddig jutott el a kérelem az elbírálási folyamatban?

A kérelmet azt követően vonták vissza, hogy az Európai Gyógyszerügynökség már értékelte a vállalat által benyújtott információt, és kidolgozott egy kérdéssort. Miután az Ügynökség értékelte a vállalatnak az utolsó kérdéssorra adott válaszait, még mindig maradt néhány megoldatlan probléma.

Mit tartalmazott az Ügynökség ajánlása az adott időpontban?

A visszavonás időpontjában az adatok és a vállalat által az Ügynökség listáján szereplő kérdésekre adott válaszok áttekintése alapján az Ügynökség részéről néhány aggály merült fel, és az volt az ideiglenes véleménye, hogy a Puldysa alkalmazása nem engedélyezhető a Duchenne-féle izomsorvadásban szenvedő, kortikoszteroidokat nem kapó betegek romló légzésfunkciójának kezelésére.

Az Ügynökség úgy vélte, hogy a tüdőfunkcióra kifejtett előnyös hatások nem jelentkeztek következetesen minden vizsgálatban, és nem tisztázták, hogy azok hosszú távon fennmaradnak-e.

Ezért a visszavonás időpontjában az Ügynökség meglátása szerint a Puldysa előnyei nem haladták meg a kockázatokat.

Mivel indokolta a vállalat a kérelem visszavonását?

Az Ügynökséget a kérelem visszavonásáról értesítő [levelében](#) a vállalat úgy nyilatkozott, hogy kérelmét azután vonja vissza, hogy egy, a Duchenne-féle izomsorvadás vonatkozásában a Puldysa-ról további adatok biztosítására irányuló, folyamatban lévő fő vizsgálatot leállítottak, mivel nem sikerült elérni annak célkitűzéseit.

Milyen következményekkel jár a visszavonás azokra a betegekre nézve, akik részt vesznek klinikai vizsgálatokban vagy engedélyezés előtti kezelési programokban?

A vállalat tájékoztatta az Ügynökséget, hogy a Duchenne-féle izomsorvadásra vonatkozóan a Puldysa-val végzett valamennyi klinikai vizsgálatot és engedélyezés előtti kezelési programot leállítanak. A klinikai vizsgálatokban részt vevő orvosok időpontot fognak egyeztetni a betegekkal a végső utókövetési vizsgálatokra.

Ha Ön ilyen klinikai vizsgálatban vagy engedélyezés előtti kezelési programban vesz részt, és kezelését illetően további információra van szüksége, vegye fel a kapcsolatot kezelőorvosával.