

London, 2008. június 26.
Dok. hiv.: EMEA/378421/2008

KÉRDÉSEK ÉS VÁLASZOK A FORGALOMBA HOZATALI ENGEDÉLY IRÁNTI KÉRELEM VISSZAVONÁSÁVAL KAPCSOLATBAN SPANIDIN

Nemzetközi szabadnév (INN): **gusperimus**

2008. június 17-én az *Euro Nippon Kayaku GmbH* hivatalosan értesítette az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottságát (CHMP), hogy vissza kívánja vonni a felnőttkori klinikai refrakter Wegener granulomatosis betegség enyhülésének előidézésére szánt *Spanidin-ra* vonatkozó forgalomba hozatali engedély iránti kérelmét. A Spanidin 2001. március 29-én „ritka betegség gyógyszere” minősítést kapott.

Milyen típusú gyógyszer a Spanidin?

A Spanidin oldatos injekció készítésére szolgáló por. A gyógyszer hatóanyagként gusperimust tartalmaz.

Milyen betegségek kezelésére szánták a Spanidin-t?

A Spanidin-t a más kezelésre nem reagáló, Wegener granulomatosis betegek tüneteinek kontrollálására szánták. A Wegener granulomatosis egy ritka autoimmun betegség (olyan betegség, amikor a szervezet védekezőrendszere a normál szöveteket támadja). Ennél a betegségnél, az immunrendszer a neutrofileket (egy fehérvérsejt-típus) támadja, a kis- és közepes méretű erek gyulladását és granulomák (összetapadt fehérvérsejtek) kialakulását okozva ezzel. Ez a jelenség elsősorban a légutakat, a tüdőt és a veséket érintő tüneteket okoz. Orvosi kezelés nélkül szervkárosodást vagy halált okoz.

Milyen hatásmechanizmust vártak a Spanidin-tól?

A Spanidin hatóanyaga, a gusperimus, immunszuppresszív gyógyszer, ami azt jelenti, hogy hatását az immunrendszer (a szervezet természetes védekező-rendszere) tevékenységének csökkentésével fejt ki. A gyógyszer várt hatása a Wegener granulomatosis esetében a gyulladásos folyamatban résztvevő limfociták (fehérvérsejt-típus) szaporodásának és tevékenységének megszakítása. A limfociták számának csökkentése és tevékenységük befolyásolása révén, a várakozások alapján Spanidin a betegség tüneteit okozó érgyulladást csökkenti.

Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a CHMP-nek a kérelem alátámasztására?

A Spanidin hatásait az emberek részvételével végzett vizsgálatok előtt először kísérleti modelleken tesztelték.

A Spanidin hatásait 45 olyan Wegener granulomatosis beteg bevonásával zajló vizsgálatban tanulmányozták, akik a standard kezelésre nem reagáltak („refrakter”). A betegek 6 ciklusban kapták a Spanidin-t; minden ciklus háromhetes „on” és egyhetes „off” kezelésből állt. A hatásosság fő mércéje azoknak a betegeknek a száma volt, akiknél a kezelés során legalább két hónapig fennállt a betegség enyhülése (nem jelentkeztek a betegség aktív tünetei). A Spanidin-t más terápiákkal nem hasonlították össze a vizsgálat során, a betegek kortikoszteroidokat (immunszuppresszív gyógyszerek) szedhetnek a Spanidin kiegészítéseként.

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

A vállalat a kérelmet a benyújtást követő 194. napon vonta vissza. Azt követően, hogy a CHMP értékelte a vállalatnak a kérdéssorra adott válaszait, még mindig maradt néhány megoldatlan probléma.

Szokásos esetben a CHMP-nek 210 napra van szüksége egy új kérelem kiértékelésére. Az eredetileg benyújtott dokumentáció áttekintése alapján a CHMP a 120. napon listát állít össze a kérdésekről, amelyet elküld a vállalat részére. Miután a vállalat válaszolt a kérdésekre, a CHMP véleményezés előtt áttekinti azokat, és további, nyitva maradt kérdéseket tehet fel a 180. napon. A CHMP állásfoglalását követően rendszerint körülbelül két hónap telik el, amíg az Európai Bizottság kiadja az engedélyt.

Mit tartalmazott a CHMP ajánlása az adott időpontban?

A visszavonás időpontjában, az adatok és a vállalat által a CHMP listáján szereplő kérdésekre adott válaszok áttekintése alapján, a CHMP bizonyos aggályainak adott hangot és az volt az ideiglenes véleménye, hogy a Spanidin nem engedélyezhető a felnőttkori klinikai refrakter Wegener granulomatosis betegség enyhülésének előidézésére.

Mik voltak a CHMP legfőbb aggályai?

A CHMP észrevétele szerint a fő vizsgálat nem bizonyította kellőképpen a Spanidin hatásosságát, a vizsgálat tervezésének és megvalósításának módjából kifolyólag. Különösen abból a szempontból, hogy a vizsgálatban résztvevő egyes betegek más terápiában is részt vehettek betegségük gyógyítása érdekében, így betegségük nem tekinthető „refrakternek”. Ezenkívül, a Spanidin-t nem hasonlították össze más kezeléssel, így nem lehet a Spanidin és a szteroidok hatását különválasztani. A CHMP azt is hangsúlyozta, hogy a vizsgálatban olyan betegek is részt vettek, akiknél az indukciós kezelés nem volt szükséges, és olyanok is, akiknél a “klasszikus” Wegener granulomatosis légutakat, tüdőt vagy veséket érintő tünetei nem jelentkeztek.

A CHMP megjegyezte, hogy az aggályok kiküszöbölése érdekében további vizsgálatra lenne szükség. A szükséges vizsgálatban a valóban refrakter betegek vennének részt, illetve a Spanidin hatásait közvetlenül a cyclophosphamiddal (az enyhülés előidézésére használt bevett kezelés a Wegener granulomatosis esetében) kellene összehasonlítani.

Ezek alapján, a visszavonás időpontjában a CHMP meglátása szerint a Spanidin előnyei tudományosan nem igazolódtak a kellő mértékben, illetve azok nem haladták meg az ismert kockázatokat.

Mivel indokolta a vállalat a kérelem visszavonását?

A vállalatnak az EMEA-t a kérelem visszavonásáról értesítő levele [itt](#) található.

Milyen következményekkel jár a visszavonás azokra a betegekre nézve, akik részt vettek Spanidin-nel folytatott klinikai tesztelésekben vagy engedélyezés előtti kezelési programokban?

A vállalat tájékoztatta a CHMP-t arról, hogy a visszavonásnak a Spanidin-nal végzett klinikai vizsgálatokban vagy engedélyezés előtti kezelési programokban jelenleg résztvevő betegekre nézve nincsenek következményei. Ha Ön ilyen klinikai vizsgálatban vagy engedélyezés előtti kezelési programban vesz részt, és további információra van szüksége a kezelését illetően, vegye fel a kapcsolatot kezelőorvosával!