

London, 2009. február 19.
Dok. hiv.: EMEA/246575/2009.

Kérdések és válaszok a forgalomba hozatali engedély iránti kérelem visszavonásával kapcsolatban

Vorinostat MSD

Nemzetközi szabadnév (INN): **vorinostat**

2009. február 13-án a Merck Sharp & Dohme Limited hivatalosan értesítette az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottságát (CHMP), hogy vissza kívánja vonni az előrehaladott, bőrszöveti T-sejtes limfómában szenvedő felnőttek kezelésére szánt Vorinostat MSD-re vonatkozó forgalomba hozatali engedély iránti kérelmét. 2004. június 21-én a Vorinostat MSD-t ritka betegségek gyógyszerévé minősítették.

Milyen típusú gyógyszer a Vorinostat MSD?

A Vorinostat MSD egy vorinostat nevű hatóanyagot tartalmazó gyógyszer. Kapszula formájában hozták volna forgalomba.

Milyen betegségek kezelésére szánták a Vorinostat MSD-t?

A Vorinostat MSD-t felnőttek előrehaladott, bőrszöveti T-sejtes limfómájának (CTCL) kezelésére használták volna. A CTCL a limfóma egy ritka típusa (a nyirokszövetek daganatos betegsége), amelynek során egyes fehérvérsejtek (T-sejtek) növekedésnek indulnak a bőrben. A Vorinostat MSD-t olyan betegeknek szánták volna, akiknek a daganatos betegsége előrehaladott állapotú (rosszabbodott), továbbra is fennáll (nem válaszol a kezelésre) vagy visszatért (kiújult), és akik nem válaszoltak legalább két másik szisztémás (teljes testet érintő) kezelésre.

Milyen hatásmechanizmust vártak a Vorinostat MSD-től?

A Vorinostat MSD hatóanyaga a vorinostat, amely gátolja a hiszton-deacetiláznak nevezett, a sejteken belüli gének „aktiválásáért” és „deaktiválásáért” felelős fehérje működését. A CTCL kezelésében a Vorinostat MSD a megfelelő pillanatban állította volna le azoknak a géneknek a működését, amelyek a tumorsejtek osztódásának és növekedésének fékezéséért felelnek. Ettől azt várták, hogy így csökken a T-sejtek növekedése és osztódása.

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

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

A vállalat egy fő vizsgálat eredményeit mutatta be, amelynek során 74, előrehaladott CTCL-ben szenvedő felnőtt kapott Vorinostat MSD-t. A betegek mindegyikének előrehaladott, tartósan fennálló vagy visszatérő betegsége volt, ugyanezen betegek két másik szisztémás kezelésben is részesültek. A Vorinostat MSD-t nem hasonlították össze más kezelésekkel. A hatásosság fő mércéje a betegség által érintett bőrfelület kiterjedésében bekövetkezett változás, illetve a bőrelváltozások súlyosságának mértéke volt.

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

A vállalat a kérelmet a benyújtást követő 206. 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-nek néhány aggálya merült fel és az volt az ideiglenes véleménye, hogy a Vorinostat MSD nem engedélyezhető az előrehaladott CTCL kezelésére.

Mik voltak a CHMP legfőbb aggályai?

A bizottságnak a fő vizsgálat kivitelezésével kapcsolatban voltak aggályai. Tekintve, hogy a készítményt nem hasonlították össze más kezelési formákkal, a Vorinostat MSD biztonságosságát és hatásosságát nem lehetett megfelelően értékelni. Ezen túlmenően a vizsgálat annak tanulmányozására sem terjedt ki, hogy mennyi volt a beteg túlélési ideje. A CHMP legfőbb aggálya a Vorinostat MSD-t szedő betegeknél kialakuló tromboembóliás események (olyan betegségek, melyeket az erekben képződő vérrögök okoznak) kockázatával volt kapcsolatos.

Ezek alapján, a visszavonás időpontjában a CHMP meglátása szerint a Vorinostat MSD előnyei 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 a Vorinostat MSD-vel folytatott klinikai tesztelésekben vagy engedélyezés előtti kezelési programokban?

A vállalat tájékoztatta a CHMP-t arról, hogy a visszavonásnak a Vorinostat MSD-vel végzett klinikai vizsgálatokban vagy engedélyezés előtti kezelési programokban jelenleg résztvevő betegekre nézve nincsenek következményei.

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