

12.07.12
EMA/CHMP/483389/2012
EMA/H/C/002427

Kérdések és válaszok

Az Egrifta-ra (teszamorelin) vonatkozó forgalomba hozatali engedély iránti kérelem visszavonása

2012. június 21-én a Ferrer Internacional, S.A. hivatalosan értesítette az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottságát (CHMP), hogy vissza kívánja vonni a lipodisztrófiás HIV betegeknek a hasi területen kialakult zsírfelcsúszás kezelésére szánt Egrifta-ra vonatkozó forgalomba hozatali engedély iránti kérelmét.

Milyen típusú gyógyszer az Egrifta?

Az Egrifta egy olyan gyógyszer, melynek hatóanyaga a teszamorelin. Oldatos injekció készítésére szolgáló por formájában került volna forgalomba.

Milyen alkalmazásra szánták az Egrifta-t?

Az Egrifta-t lipodisztrófiás HIV betegeknek a hasi területen kialakult zsírfelcsúszás kezelésére szánták, ami egy olyan állapot, amely a testzsír eloszlásának elváltozásához vezet. Ismert tény, hogy egyes HIV-fertőzött betegeknek előfordul lipodisztrófia, amely a test bizonyos területein zsírvesztéshez, illetve esetenként a hasi területen zsír felhalmozódásához vezet.

Milyen hatásmechanizmust várnak az Egrifta-tól?

Az Egrifta hatóanyaga, a teszamorelin, az emberi növekedési hormon-releasing faktorhoz (GRF) hasonló, egy olyan hormon a szervezetben, ami a növekedési hormon felszabadulását serkenti. Kimutatták, hogy a növekedési hormon szerepet játszik a zsírszövet kialakulásának és lebontásának szabályozásában.

A teszamorelin a várakozások szerint a GRF-hez hasonló módon fejti ki hatását, növekedési hormont szabadít fel, ami ezután várhatóan fokozza a zsír lebontását a lipodisztrófiás HIV betegeknél, ezáltal csökkentve a hasi területen lévő zsírfelüleletet.

Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a kérelem alátámasztására?

A vállalat két fő vizsgálat eredményeit nyújtotta be, amelyekben 816 HIV beteg vett részt, a hasi területen felhalmozódott zsírfelülelettel. A vizsgálatok az Egrifta-t placebóval (hatóanyag nélküli kezelés) hasonlították össze, a hatásosság fő mutatója pedig a hasi zsírfelülelet változása volt 26 hetes kezelés után.

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

A kérelmet azután vonták vissza, hogy a CHMP már értékelte a vállalat által benyújtott dokumentációt, és kidolgozott egy kérdéslistát. Azt követően, hogy a CHMP értékelte a vállalatnak az utolsó kérdéssorra adott válaszait, még mindig maradt néhány megoldatlan kérdés.

Mit tartalmazott a CHMP ajánlása az adott időpontban?

A visszavonás időpontjában az adatok és a vállalat által a CHMP listáin szereplő kérdésekre adott válaszok áttekintése alapján a CHMP részéről néhány aggály merült fel, és az volt az ideiglenes véleménye, hogy az Egrifta alkalmazása nem engedélyezhető lipodisztrófiás HIV betegeknél a hasi területen kialakult zsírfelülelet kezelésére.

A CHMP számára aggályos volt, hogy hogyan alkalmaznák az Egrifta-t a klinikai gyakorlatban, mert a lipodisztrófia, illetve az elhízás miatt kialakult hasi zsírfelülelet nehéz megkülönböztetni egymástól. A CHMP mérlegelte a vállalatnak azon javaslatát, miszerint a gyógyszert csak azok a beteg kaphatnák, akiknél a hasi zsírfelülelet bizonyos mennyiség fölött van (a definíció szerint legalább 130 cm²), de a határértéket alátámasztó bizonyítékok nem voltak elegendők.

Ezen kívül, bár a fő vizsgálatok szerint az Egrifta csökkentette a hasi zsírfelüleletet, a betegek egészségével kapcsolatos valós előny tekintetében a csökkenés nem mutatkozott klinikailag jelentősnek. Az eredmények relevanciáját azért is megkérdőjelezték, mert a fő vizsgálatokban résztvevő betegek nem reprezentálták az európai HIV betegek csoportját, akiknek átlagos testtömeg-indexe (BMI) alacsonyabb, és hasi zsírfelüleletük is kisebb mértékű, mint a vizsgálatokban résztvevő betegeké.

A biztonságosság tekintetében a CHMP felhívta a figyelmet arra, hogy jelentős számú, Egrifta-val kezelt betegnél megnőtt az inzulinszerű növekedési faktor (IGF-1) nevű fehérje szintje. A magas IGF-1 szint megnövelheti a rák kockázatát, valamint a diabéteszes szembetegség esetleges romlását okozhatja, és ezt a Bizottság jelentős biztonságossági aggálynak tartotta. Emellett hosszú távú biztonságossági adatokat nem nyújtottak be, bár az Egrifta-kezelés várhatóan hosszú távú lett volna.

Ezért a visszavonás időpontjában a CHMP meglátása szerint az Egrifta előnyei nem haladták meg a kockázatokat.

Mivel indokolta a vállalat a kérelem visszavonását?

Hivatalos levelében a vállalat kijelentette, hogy azért döntött úgy, hogy kérelmét visszavonja, mert a CHMP jelezte, a benyújtott adatok alapján a Bizottság nem tudja megállapítani a pozitív előny-kockázati profilt.

A visszavonásról szóló levél [itt](#) érhető el.

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

A vállalat arról tájékoztatta a CHMP-t, hogy a visszavonásnak az Egrifta-val végzett engedélyezés előtti kezelési programokban jelenleg részt vevő betegekre nézve nincsenek következményei.

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