



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2012. december 14.
EMA/20333/2013
EMA/H/C/2259

Kérdések és válaszok

A Jenzyl-re (ridaforolimusz) vonatkozó forgalomba hozatali engedély iránti kérelem visszavonása

2012. november 27-én a Merck Sharp & Dohme Limited hivatalosan értesítette az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottságát (CHMP), hogy vissza kívánja vonni a korábban kemoterápiával kezelt áttétes lágyszöveti szarkómában vagy csontszarkómában szenvedő betegek fenntartó kezelésére szánt Jenzyl-re vonatkozó forgalomba hozatali engedély iránti kérelmét.

Milyen típusú gyógyszer a Jenzyl?

A Jenzyl olyan gyógyszer, amely egy ridaforolimusz nevű hatóanyagot tartalmaz. 10 mg-os tabletták formájában lett volna kapható.

Milyen alkalmazásra szánták a Jenzyl-t?

A Jenzyl-t felnőttkori áttétes (a szervezet más részeire áttért) lágyszöveti szarkóma (olyan daganattípus, amely a szervezet támasztó, lágy szöveteit érinti) vagy csontszarkóma (csontdaganat) kezelésére szánták.

Fenntartó kezelésre alkalmazták volna olyan betegeknél, akik már két vagy három kemoterápiás kúrán estek át.

A Jenzyl 2005. augusztus 26-án, illetve 2005. október 28-án a lágyszöveti szarkóma és az elsődleges rosszindulatú csontdaganatok kezelése tekintetében „ritka betegségek gyógyszere” (orphan medicine) minősítést kapott.

Milyen hatásmechanizmust várnak az Jenzyl-től?

A Jenzyl hatóanyaga, a ridaforolimusz, a szervezetben található sejtek növekedését és szaporodását szabályozó enzim, az mTOR (mammalian target of rapamycin, az emlős rapamicin-célpont) hatását gátolja. A szervezetben a ridaforolimusz elsőként a sejtek belsejében található, FKBP-12 nevű fehérjéhez kapcsolódik, és együttesen egy úgynevezett komplexet képeznek. Ez a komplex gátolja az



mTOR-t. Mivel az mTOR részt vesz a sejtek osztódásának és az erek növekedésének szabályozásában, a ridaforolimus meggátolja a daganatsejtek osztódását és csökkenti a vérellátásukat. Ezzel várhatóan lelassítja a daganatsejtek növekedését és szaporodását.

Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a kérelem alátámasztására?

A vállalat benyújtotta egy fő vizsgálat eredményeit, amelyet áttétes lágyszöveti szarkómában vagy csontszarkómában szenvedő és korábban – legfeljebb négy ciklusban alkalmazott – egy, kettő vagy három alternatív kemoterápiás kúrán átesett 711 beteg részvételével végeztek. A vizsgálat a Jenzyl-t placebóval (hatóanyag nélküli kezelés) hasonlította össze. A hatásosság fő mércéje az volt, hogy meddig éltek a betegek mielőtt a betegségük rosszabbodott volna.

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

A kérelmet azt követően vonták vissza, hogy a CHMP már értékelte a vállalat által eredetileg benyújtott dokumentációt, és kidolgozott egy kérdéslistát. A vállalat a visszavonás időpontjában még nem válaszolt az utolsó kérdéssorra.

Mit tartalmazott a CHMP ajánlása az adott időpontban?

A visszavonás időpontjában az adatok és a vállalat által a kérdésekre adott válaszok áttekintése alapján a CHMP részéről néhány aggály merült fel, és az volt a bizottság ideiglenes véleménye, hogy a Jenzyl alkalmazása nem engedélyezhető az áttétes lágyszöveti szarkómában vagy csontszarkómában szenvedő betegek kezelésére.

A CHMP aggályosnak találta, hogy a placebóhoz hasonlítva a Jenzyl szedése csak kismértékben növelte meg a betegség rosszabbodásáig eltelt időt (18 hétre 15 héttel szemben a korábban egy vagy több kemoterápiás kúrán átesett betegeknél, és 16 hétre 10 héttel szemben a korábban kettő vagy három kemoterápiás kúrán átesett betegeknél). Figyelembe véve, hogy a betegek általában hosszú ideig éltek a betegségük rosszabbodása után, a CHMP ezt az előnyt mérsékeltnak tekintette. A CHMP úgy vélte továbbá, hogy a két vagy három korábbi kemoterápiás kúrán átesett betegeknél észlelt valamelyest jobb hatás az egy vagy több kúrán átesett betegekhez hasonlítva nem feltétlenül tükrözi a gyógyszer hatásának valós mértékét, mivel nem volt világos, hogy miért hatna jobban a gyógyszer a betegség későbbi stádiumaiban. A biztonságosság szempontjából a CHMP aggályosnak találta a betegek jóllétét csökkentő mellékhatások gyakoriságát, valamint egyes nem gyakori, de lehetségesen életveszélyes mellékhatások előfordulását.

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

Mivel indokolta a vállalat a kérelem visszavonását?

Az Ügynökséget a kérelem visszavonásáról értesítő levelében a vállalat kijelentette, hogy a kérelem visszavonása mellett döntött, mivel a CHMP úgy vélte, hogy a benyújtott adatok nem tették lehetővé, hogy a bizottság pozitívnak minősíthesse az előny-kockázat profilt.

A visszavonással kapcsolatos levél [itt](#) olvasható.

Milyen következményekkel jár a visszavonás azokra a betegekre nézve, akik részt vettek a klinikai vizsgálatokban?

A vállalat tájékoztatta a CHMP-t, hogy a Jenzyl-lel kapcsolatos klinikai vizsgálatokban részt vevő betegek számára az elutasítás nem jár következményekkel.

Ha Ön klinikai vizsgálatban vesz részt, és további információra van szüksége a kezelésével kapcsolatban, forduljon kezelőorvosához.

A ritka betegségek gyógyszereivel foglalkozó bizottság Jenzyl-re vonatkozó véleményének összefoglalója az Ügynökség weboldalán található: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation) ([lágyszöveti szarkóma](#) és [elsődleges rosszindulatú csontdaganatok](#)).