



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2009. december 17.
EMA/830685/2009
EMA/H/C/1020

Kérdések és válaszok a Nenad (lizurid) forgalomba hozatali engedély iránti kérelem visszavonásával kapcsolatban

2009. November 30.-án az Axxonis Pharma AG hivatalosan értesítette az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottságát (hogy vissza kívánja vonni a közepesen súlyos és súlyos, idiopátiás nyugtalan láb szindrómás felnőttek kezelésére alkalmazandó Nenad forgalomba hozatali engedélye iránt benyújtott kérelmét.

Milyen típusú gyógyszer a Nenad?

A Nenad transzdermális tapasz (olyan tapasz, amelyből a gyógyszer a bőrön keresztül jut be a szervezetbe), melynek hatóanyaga a lizurid.

Milyen betegségek kezelésére szánták a Nenad-ot?

A Nenad-ot a közepesen súlyos és súlyos, ismeretlen eredetű nyugtalan láb szindrómás felnőttek kezelésére kívánták alkalmazni. A nyugtalan láb szindróma olyan betegség, amelyben a beteg kontrollálhatatlanul mozgatni akarja a végtagjait annak érdekében, hogy a test kényelmetlen, fájdalmas és furcsa érzéseit megszüntesse; ez általában éjszaka fordul elő. Az idiopátiás azt jelenti, hogy a betegségnek nincs nyilvánvaló oka.

Milyen eredményeket vártak a Nenad-tól?

A Nenad hatóanyaga, a lizurid egy dopamin agonista. Ez azt jelenti, hogy a dopamine hatását utánozza; a dopamin egy jelkövetítő vegyület, az agynak a mozgást kontrolláló és koordináló részében. A lizurid nyugtalan láb szindrómában kifejtett várt hatásának mechanizmusa nem teljesen tisztázott. Azt feltételezték, hogy a szindrómát a dopaminnak az agyban kifejtett hatásával kapcsolatos probléma okozza, amelyet a lizurid hozna helyre.

Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat az Ügynökségnek a kérelem alátámasztására?

A Nenad hatásait az emberek részvételével végzett vizsgálatok előtt először kísérleti modelleken tesztelték. A vállalat egy fő vizsgálat eredményeit nyújtotta be, amelyben 309 nyugtalan láb



szindrómás beteg vett részt. A betegek Nenad-ot, ropinirolt (egy másik gyógyszer, amit a nyugtalan láb szindróma kezelésére alkalmaznak) vagy placebót (hatóanyag nélküli gyógyszert) kaptak. A hatásosság fő mércéje a betegek tüneteinek mértékében beálló változások 12 hetes kezelést követően, a Nemzetközi Nyugtalan Láb Szindróma (International Restless Legs Syndrome, IRLS) értékelő skála felhasználásával kapott pontszám alapján. A 12 hetes kezelést befejező 210 betegnek felajánlották a lehetőséget, hogy egy kiterjesztett vizsgálatban folytathatják a kezelést.

A vállalat Parkinson-kóros betegekkel elvégzett vizsgálatok eredményeit is benyújtotta. A CHMP értékelési eljárása alatt azonban a vállalat visszavonta a Nenad e betegségben történő használatának engedélyezésére vonatkozó kérelmét.

Hol tartott az értékelés, amikor a kérelmet visszavonták?

Az értékelés befejeződött és a CHMP negatív szakvéleményt adott ki. A vállalat kérelmét visszavonta még mielőtt az Európai Bizottság a véleményezés alapján határozatot hozott.

Mit tartalmazott a CHMP ajánlása az adott időpontban?

Az adatok felülvizsgálata és a vállalatnak a CHMP által összeállított kérdésekre adott válaszai alapján, a kérvény visszavonásakor a CHMP negatív szakvéleményt adott ki, javasolva a Nenad forgalomba hozatali engedély kérelmének elutasítását.

A CHMP felhívta a figyelmet, hogy bár a Nenad rövid távon hatásosnak bizonyult a nyugtalan láb szindróma kezelésében, hosszú távú hatásosságának alátámasztására nincs elegendő bizonyíték. Tekintettel arra, hogy a nyugtalan láb szindróma gyakran élethossziglan tartó betegség, a hosszú távú adatok elengedhetetlenek. A Bizottság azt is problémásnak találta, hogy a vizsgálatban résztvevő nagyszámú beteg hagyta abba a Nenad kezelést bőrirritáció miatt, ami lehetetlenné teszi a tapasz hosszú távú alkalmazását. Problémát jelentett az is, hogy a tapaszok nem tapadtak eléggé a bőrre.

Ezért ezen a ponton a CHMP azon a véleményen volt, hogy a lizurid előnyei a nyugtalan láb szindróma kezelése tekintetében nem haladják meg annak kockázatait.

Mivel indokolta a vállalat a kérelem visszavonását?

A vállalatnak a kérelem visszavonásával kapcsolatban a CHMP részére megküldött értesítő levele [itt](#) olvasható.

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

A vállalat tájékoztatta a CHMP-t, a Nenad-dal kapcsolatos klinikai vizsgálatokban illetve engedélyezés előtti kezelési programokban résztvevő betegekre nézve ez a visszavonás semmilyen következménnyel nem jár.