



London, 2009. október 22.
Dok. hiv. EMEA/745178/2009
EMA/H/C/994

Kérdések és válaszok a forgalomba hozatali engedély iránti kérelem visszavonásával kapcsolatban
Opaxio
paclitaxel poliglumex

2009. szeptember 21-én a CTI Life Sciences Ltd hivatalosan értesítette az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottságát (CHMP), hogy vissza kívánja vonni az ECOG-2 fizikai teljesítőképességű betegek előrehaladott, nem kissejtes tüdőrákja első vonalbeli kezelésére szánt Opaxio forgalomba hozatali engedélyezése iránti kérelmét.

Milyen típusú gyógyszer az Opaxio?

Az Opaxio egy por, amelyből oldatos infúziót (véna cseppinfúzió) készítenek. Hatóanyagként paclitaxel poliglumexet tartalmaz.

Milyen betegségek kezelésére szánták az Opaxio-t?

Az Opaxio-t előrehaladott, nem kissejtes tüdőrákban szenvedő, ECOG-2 fizikai teljesítőképességű betegeknél kívánták alkalmazni. Az ECOG fizikai teljesítőképesség a rákos beteg betegségi állapotának mérőszáma. A 2. fokú fizikai teljesítőképesség azt jelenti, hogy a beteg segítség nélkül el tudja látni magát, de túl beteg ahhoz, hogy bármilyen munkát végezzen.

Milyen hatásmechanizmust várnak az Opaxio-tól?

A várakozások szerint az Opaxio hatóanyaga, a paclitaxel poliglumex, a rákos sejtekben paclitaxellé alakul át. A paclitaxel blokkolja a sejtek képességét a belső „váz” lerombolására, amely lehetővé teszi számukra az osztódást és szaporodást. Amíg a váz megvan, a sejtek nem tudnak osztódni, és végül elpusztulnak.

A paclitaxel egy rákellenes gyógyszer, amely 1993. óta kapható az Európai Unióban. Az Opaxio-ban poliglumexet kapcsoltak a paclitaxelhez, hogy oldhatóbbá tegyék azt.

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

Az Opaxio hatásait az emberek részvételével végzett vizsgálatok előtt először kísérleti modelleken tesztelték. A vállalat egy 477 – előrehaladott, nem kissejtes tüdőrákban szenvedő, 2. fokú fizikai teljesítőképességű – beteg bevonásával végzett fő vizsgálat eredményeit nyújtotta be. Az Opaxio-t gemcitabinnal vagy vinorelbinnel (két rákellenes gyógyszer) hasonlították össze. A hatásosság fő mércéje a betegek élettartama volt.

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

A vállalat a kérelmet a benyújtást követő 180. napon vonta vissza. Azt követően, hogy a CHMP értékelte a vállalatnak a kérdéssorokra adott válaszait, még mindig maradt néhány megoldatlan probléma.

Általában 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 a 180. napon további kérdéseket tehet fel. A CHMP állásfoglalását követően rendszerint körülbelül két hónap telik el, amíg az Európai Bizottság határozatot ad ki erről a véleményről.

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 az Opaxio alkalmazása nem engedélyezhető az előrehaladott, nem kissejtes tüdőrákban szenvedő, ECOG-2 fizikai teljesítőképességű betegek első vonalbeli kezelésére.

Mik voltak a CHMP legfőbb aggályai?

A CHMP megállapította, hogy a fő vizsgálat nem bizonyította az Opaxio hatásosságát az előrehaladott, nem kissejtes tüdőrákban szenvedő, ECOG-2 fizikai teljesítőképességű betegeknél. A bizottság nem fogadta el a vállalat véleményét, amely szerint az Opaxio legalább olyan hatásos, mint az összehasonlító szerek, mert nem egyértelmű, hogy maguk az összehasonlító szerek hatásosak-e a fő vizsgálatba bevont betegpopulációnál. Továbbá, a vizsgálatok nem igazolták, hogy az Opaxio hatásosabb, mint a két összehasonlító szer.

A CHMP-nek aggályai merültek fel a gyógyszer mellékhatásaival, különösen az idegkárosodással (neuropátia) és a megmagyarázhatatlan halálesetekkel kapcsolatban is. Aggályok merültek fel a gyógyszerben a szennyezőanyagok jelenlétével, valamint azzal kapcsolatban, hogy az Opaxio alkalmazásakor a paclitaxel milyen módon szabadul fel és oszlik el a szervezetben.

Mivel indokolta a vállalat a kérelem visszavonását?

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

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

A vállalat arról tájékoztatta a CHMP-t, hogy a visszavonásnak az Európai Unióban nincsenek következményei a betegekre nézve, mert az EU-ban nem folytatnak klinikai vizsgálatokat és engedélyezés előtti kezelési programokat.

Az EU területén kívül azonban a vállalat számos rákbetegségben – beleértve a petefészek- a nyelöcső- és a nem kissejtes tüdőrákot – folytatja az Opaxio-val végzett vizsgálatokat.