



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2025. február 28.
EMA/67546/2025
EMA/H/C/006348

A Pelgraz Paediatric (pegfilgrasztim) forgalombahozatali engedélye iránti kérelem visszavonása

Az Accord Healthcare S.L.U. visszavonta a daganatos betegségben szenvedő gyermekeknél előforduló neutropénia (a fehérvérsejtek egy típusának, a fertőzések elleni küzdelmet segítő neutrofileknek az alacsony szintje) kezelésére és a lázas neutropénia megelőzésére szánt Pelgraz Paediatric-re vonatkozó forgalombahozatali engedély iránti kérelmét. A neutropénia a daganatos betegségek kezelésére alkalmazott kemoterápia gyakori mellékhatása, és növeli a fertőzések kockázatát.

A vállalat 2025. február 20-án vonta vissza a kérelmet. A visszavonás nem érinti a daganatos betegségben szenvedő felnőttek neutropéniájának kezelésére engedélyezett Pelgraz-ra vonatkozó forgalomba hozatali engedélyt.

Milyen típusú gyógyszer a Pelgraz Paediatric és milyen alkalmazásra szánták?

A Pelgraz Paediatric-ot a neutropénia időtartamának csökkentésére és a lázas neutropénia megelőzésére szolgáló gyógyszerként fejlesztették ki olyan, daganatos betegségben szenvedő gyermekeknél, akiknek a testtömege 10 kg és 45 kg között van.

A Pelgraz Paediatric hatóanyaga a pegfilgrasztim, és bőr alá adandó oldatos injekciót tartalmazó előretöltött fecskendő formájában kívánták forgalomba hozni, amelyet minden egyes kemoterápiás ciklust követően egyetlen adagban kellett volna beadni.

A Pelgraz Paediatric-ot „hasonló biológiai gyógyszerként” fejlesztették ki. Ez azt jelenti, hogy a Pelgraz Paediatric készítményt egy, az Európai Unióban már engedélyezett, pegfilgrasztimot tartalmazó másik biológiai gyógyszerhez (a „referencia-gyógyszer”) nagyon hasonlóknak szánták. A Pelgraz Paediatric referencia-gyógyszere a Neulasta, amely csak felnőtteknél engedélyezett, míg a Pelgraz Paediatric-ot kifejezetten gyermekeknél történő alkalmazásra fejlesztették ki (gyermekgyógyászati felhasználásra szóló forgalombahozatali engedély). A hasonló biológiai gyógyszerekkel kapcsolatban további információk [itt](#) találhatóak.

Hogyan fejti ki hatását a Pelgraz Paediatric?

A Pelgraz Paediatric és a Neulasta hatóanyaga, a pegfilgrasztim egy formája a filgrasztimnek, amely nagyon hasonlít a granulocita kolónia stimuláló faktornak (G-CSF) nevezett emberi fehérjéhez. A G-

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



CSF-hez hasonlóan a filgrasztim azáltal fejti ki hatását, hogy a csontvelőt több fehérvérsejt termelésére ösztönzi, növelve a fehérvérsejtek számát, megelőzve és kezelve a neutropéniát, és így segítve a szervezetet a fertőzések elleni küzdelemben.

A filgrasztim más gyógyszerekben már évek óta forgalomban van az Európai Unióban (EU). A Pelgraz Paediatric és a Neulasta-ban a filgrasztim „pegilált” (egy polietilén-glikolnak nevezett anyaghoz kötött). Ez csökkenti a filgrasztim szervezetből való kiürülésének sebességét, így a gyógyszert ritkábban kell alkalmazni.

Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a kérelem alátámasztására?

A vállalat vizsgálatokat nyújtott be annak igazolására, hogy a Pelgraz Paediatric felnőtteknél összehasonlítható a referencia-gyógyszerrel. Mivel a Pelgraz Paediatric-ot olyan gyermekeknél tervezték alkalmazni, akik számára a referencia-gyógyszert nem engedélyezték, a vállalat egy fő vizsgálat eredményeit nyújtotta be, amelyben 12, 6 év alatti, daganatellenes kemoterápiában részesülő gyermek vett részt. A vizsgálatban a Pelgraz Paediatric-ot a filgrasztim nem pegilált formájával hasonlították össze.

A vállalat további adatokat, köztük a tudományos szakirodalomból származó adatokat és két metaanalízist (több közzétett vizsgálat kombinált elemzéseit) is benyújtott a pegfilgrasztim gyermekeknél kifejtett hatásosságának és biztonságosságának a javasolt adagolási rend szerinti alátámasztása érdekében.

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

A kérelmet azt követően vonták vissza, hogy az Európai Gyógyszerügynökség már értékelte a vállalat által benyújtott dokumentációt, és kidolgozta a kérdéslistákat. Miután az Ügynökség értékelte a vállalatnak az utolsó kérdéssorra adott válaszait, még mindig maradt néhány megoldatlan probléma.

Mit tartalmazott az Ügynökség ajánlása az adott időpontban?

A visszavonás időpontjában az adatok és a vállalat által az Ügynökség listáján szereplő kérdésekre adott válaszok áttekintése alapján az Ügynökség részéről néhány aggály merült fel, és az volt az ideiglenes véleménye, hogy a Pelgraz Paediatric alkalmazása nem engedélyezhető daganatos, 10 kg és 45 kg közötti testtömegű gyermekeknél a neutropénia csökkentésére és a lázas neutropénia megelőzésére.

Az Ügynökségnek aggályai merültek fel azzal kapcsolatban, hogy az adatok nem támasztják alá kellőképpen a javasolt adagolási rendet. Emellett aggályok merültek fel az előretöltött fecskendővel végzett adagolás pontosságával kapcsolatban, ami adagolási hibákhoz vezethet. Ezért a visszavonás időpontjában az Ügynökség véleménye az volt, hogy a Pelgraz Paediatric előnyei nem haladták meg a kockázatokat.

Mivel indokolta a vállalat a kérelem visszavonását?

Az Ügynökséget a kérelem visszavonásáról értesítő [levelében](#) a vállalat úgy nyilatkozott, hogy az Ügynökség által felvetett aggályok miatt visszavonja a kérelmet.

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

A vállalat tájékoztatta az Ügynökséget, hogy a visszavonásnak a Pelgraz Paediatric-kal végzett klinikai vizsgálatokban részt vevő betegekre nézve nincsenek következményei.

Ha Ön ilyen klinikai vizsgálatban vesz részt, és kezelését illetően további információra van szüksége, vegye fel a kapcsolatot kezelőorvosával.