

2017. november 10.
EMA/736863/2017
EMA/H/C/003874

Kérdések és válaszok

Az Onzeald-ra (etirinotekán-pegol) vonatkozó forgalomba hozatali engedély elutasítása

A felülvizsgálat eredménye

2017. július 20-án az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottsága (CHMP) negatív véleményt fogadott el, amelyben az előrehaladott, az agyra is áttérjedt emlőrák kezelésére szánt Onzeald-ra vonatkozó forgalomba hozatali engedély elutasítását javasolta. Az engedély iránti kérelmet a Nektar Therapeutics UK Limited nyújtotta be.

A vállalat az eredeti vélemény felülvizsgálatát kérte. E kérelem indokainak mérlegelését követően a CHMP felülvizsgálta a véleményt, és 2017. november 9-én megerősítette a forgalomba hozatali engedély iránti kérelem elutasítását.

Milyen típusú gyógyszer az Onzeald?

Az Onzeald egy rákgyógyszer, amely hatóanyagként etirinotekán-pegolt tartalmaz. A gyógyszer oldatos infúzió készítésére szolgáló por formájában lett volna kapható.

Milyen alkalmazásra szánták az Onzeald-ot?

Az Onzeald-ot előrehaladott emlőrákban szenvedő felnőttek kezelésére szánták, akiknek a betegsége áttérjedt az agyra és a test más részeire, és már kaptak más kezelést.

Hogyan fejti ki hatását az Onzeald?

Az Onzeald hatóanyaga, az etirinotekán-pegol irinotekánból (a „topoizomeráz-gátlók” csoportjába tartozó rákgyógyszer) áll, amelyet „pegiláltak” (egy polietilén-glikol nevű vegyülethez kapcsoltak). Az irinotekán gátolja a topoizomeráz-I-et. Ez az enzim a sejt DNS-ének másolásában vesz részt, amire az új sejtek képződéséhez van szükség. Az enzim blokkolása révén a ráksejtek nem képesek osztódni, és végül elpusztulnak.

Az EU-ban az irinotekán több éve engedélyezett a vastagbélrák kezelésére. Mivel az etirinotekán-pegolban pegilálva van, csökken a gyógyszer szervezetből való kiürülésének sebessége, így lehetővé válik annak ritkább alkalmazása.

Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a kérelem alátámasztására?

A vállalat egy fő vizsgálat eredményeit mutatta be, amelyben 852 olyan, emlőrákban szenvedő beteg vett részt, akiknek a betegsége a test más részeire is áttért, és akiket legalább két másik rákgyógyszerrel kezelték már. Ebben a vizsgálatban az Onzeald-ot a kezelőorvos által kiválasztott, standard rákgyógyszerekkel hasonlították össze, és a fő hatékonysági mutató a betegek teljes túlélése volt (mennyi ideig éltek a betegek).

Melyek voltak a CHMP fő aggályai, amelyek az elutasításhoz vezettek?

A CHMP úgy vélte, hogy nem igazolták kellőképpen az Onzeald előnyét az agyra és a test más részeire áttért, előrehaladott emlőrák kezelésében. A hatásosság állítása egy olyan fő vizsgálatban részt vevő betegek egyik alcsoportjából származó adatokon alapult, amelynek összességében nem sikerült meggyőzően igazolni az Onzeald hatásosságát. A bizottság úgy vélte, hogy az ebből az alcsoportból származó adatok – amelyeket további vizsgálatok nem támasztottak alá – nem voltak elégségesek az Onzeald hatásosságának bizonyítására, még akkor sem, ha különböző módszerekkel elemezték azokat.

Ezért a CHMP azon a véleményen volt, hogy a vizsgálat nem nyújtott elég bizonyítékot az Onzeald előnyeire, és a forgalomba hozatali engedély elutasítását javasolta. A CHMP elutasítását a felülvizsgálat után megerősítette.

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

A vállalat tájékoztatta a CHMP-t, hogy a klinikai vizsgálatok keretében ezzel a gyógyszerrel kezelt betegek továbbra is a tervezett módon kapják majd a gyógyszert.

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