



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

13 novembre 2020
EMA/594092/2020
EMA/H/C/005123

Ritiro della domanda di autorizzazione all'immissione in commercio per Puldysa (idebenone)

Santhera Pharmaceuticals (Deutschland) GmbH ha ritirato la domanda di autorizzazione all'immissione in commercio per Puldysa per il trattamento della distrofia muscolare di Duchenne.

La ditta ha ritirato la domanda di autorizzazione in data 28 ottobre 2020.

Che cos'è Puldysa e per che cosa avrebbe dovuto essere usato?

Puldysa è stato sviluppato come medicinale per trattare il peggioramento della respirazione nei pazienti affetti da distrofia muscolare di Duchenne ai quali non sono somministrati corticosteroidi.

Il medicinale contiene il principio attivo idebenone e avrebbe dovuto essere disponibile in compresse rivestite con film da assumere per via orale.

È stato sviluppato come "medicinale ibrido". Ciò significa che avrebbe dovuto essere simile a un "medicinale di riferimento" contenente lo stesso principio attivo e già autorizzato nell'Unione europea. Il medicinale di riferimento è Mnesis, che è autorizzato in Italia per il trattamento del glaucoma.

Puldysa è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 20 marzo 2007 per la distrofia muscolare di Duchenne. Ulteriori informazioni sulla designazione di medicinale orfano sono disponibili [qui](#).

Come agisce Puldysa?

Il principio attivo di Puldysa, idebenone, è un antiossidante che agisce sui mitocondri (le strutture cellulari che producono l'energia necessaria per l'attività delle cellule). Nei pazienti affetti da distrofia muscolare di Duchenne, i mitocondri non funzionano correttamente e producono forme tossiche di ossigeno che danneggiano le cellule muscolari. Si ritiene che idebenone contribuisca a migliorare la produzione di energia ripristinando la funzione mitocondriale, in modo da prevenire i danni alle cellule e la perdita della funzione muscolare compresa quella dei muscoli respiratori.

Idebenone è autorizzato nell'UE anche per il trattamento di disturbi cognitivi e comportamentali, dell'atassia di Friedreich e della neuropatia ottica ereditaria di Leber.

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



Quale documentazione ha presentato la ditta a sostegno della domanda?

La ditta ha fornito i risultati di tre studi principali condotti su pazienti affetti da distrofia muscolare di Duchenne che non erano in trattamento con corticosteroidi. In due studi Puldysa è stato confrontato con un placebo (un trattamento fittizio); l'efficacia è stata misurata mediante il miglioramento della funzione polmonare o un cambiamento del PEF (picco di flusso espiratorio, un indicatore della funzione respiratoria) dopo un anno di trattamento. Nel terzo studio i pazienti trattati con Puldysa sono stati monitorati più a lungo per vedere se gli effetti sulla respirazione erano mantenuti.

A che punto della valutazione si trovava la domanda quando è stata ritirata?

La domanda è stata ritirata dopo che l'Agenzia europea per i medicinali aveva valutato le informazioni fornite dalla ditta e preparato domande da sottoporle. Dopo la valutazione da parte dell'Agenzia delle risposte della ditta all'ultima serie di domande, alcuni problemi erano rimasti irrisolti.

Qual era la raccomandazione dell'Agenzia a quel punto?

In base all'esame dei dati e della risposta fornita dalla ditta alle domande dell'Agenzia, al momento del ritiro della domanda, l'Agenzia aveva alcuni dubbi ed era provvisoriamente del parere che Puldysa non potesse essere autorizzato per il trattamento del peggioramento della funzione respiratoria nei pazienti affetti da distrofia muscolare di Duchenne che non fanno uso di corticosteroidi.

L'Agenzia ha ritenuto che gli effetti benefici sulla funzione polmonare non fossero coerenti tra i vari studi e che non fosse chiaro se potessero essere mantenuti nel lungo termine.

Pertanto, al momento del ritiro della domanda, l'Agenzia riteneva che i benefici di Puldysa non fossero superiori ai suoi rischi.

Quali sono i motivi invocati dalla ditta per il ritiro della domanda?

Nella [lettera](#) con cui notifica all'Agenzia il ritiro della domanda, la ditta ha dichiarato di ritirare la domanda dopo che uno studio principale in corso, che avrebbe dovuto fornire ulteriori prove a sostegno di Puldysa nella distrofia muscolare di Duchenne, è stato interrotto in quanto non in grado di raggiungere gli obiettivi.

Il ritiro della domanda influisce sui pazienti inseriti in studi clinici o in programmi di uso compassionevole?

La ditta ha informato l'Agenzia che si stanno interrompendo tutti gli studi clinici e i programmi di uso compassionevole per Puldysa nel quadro della distrofia muscolare di Duchenne. I medici che si occupano di studi clinici contatteranno i pazienti per organizzare le visite di controllo finali.

Le persone inserite in uno studio clinico o in un programma di uso compassionevole che abbiano bisogno di maggiori informazioni possono consultare il medico dello studio clinico.