

16 dicembre 2016
EMA/817193/2016
EMA/H/C/004055

Domande e risposte

Ritiro della domanda di autorizzazione all'immissione in commercio per Graspa (eryaspase)

Il 14 novembre 2016, Erytech Pharma SA ha notificato ufficialmente al comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) la sua intenzione di ritirare la domanda di autorizzazione all'immissione in commercio per Graspa, per il trattamento della leucemia linfoblastica acuta.

Che cos'è Graspa?

Graspa è un medicinale antitumorale che contiene il principio attivo eryaspase (una versione dell'enzima asparaginasi racchiusa nei globuli rossi compatibile con il gruppo sanguigno del paziente). L'asparaginasi è un enzima utilizzato da molti anni per il trattamento del cancro ed è già approvato con diverse denominazioni commerciali nell'UE.

Per che cosa avrebbe dovuto essere usato Graspa?

Graspa avrebbe dovuto essere usato in associazione ad altri medicinali antitumorali per trattare adulti e bambini di età superiore a 1 anno affetti da leucemia linfoblastica acuta (LLA), un tumore dei globuli bianchi. Il medicinale era destinato all'utilizzo in pazienti il cui tumore era classificato "cromosoma Philadelphia negativo" e che non aveva risposto al trattamento iniziale oppure che si era ripresentato dopo il trattamento.

Graspa è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 26 ottobre 2006 per il trattamento della LLA. Ulteriori informazioni sulla designazione di medicinale orfano sono disponibili [qui](#).

Come agisce Graspa?

In Graspa, l'asparaginasi agisce scindendo l'amminoacido asparagina e riducendone i livelli ematici. Le cellule tumorali necessitano di questo amminoacido per crescere e moltiplicarsi, per cui la sua riduzione nel sangue causa la loro morte. Le cellule normali, invece, possono produrre da sole l'asparagina e

sono meno colpite dall'azione del medicinale. L'asparaginasi in Graspas è racchiusa nei globuli rossi al fine di proteggere l'enzima dalla decomposizione nell'organismo. Poiché l'asparaginasi è una proteina, può causare reazioni allergiche ma, racchiudendola nei globuli rossi, il rischio di allergia dovrebbe essere ridotto.

Quale documentazione ha presentato la ditta a sostegno della domanda?

La ditta ha fornito dati su Graspas, compresi i risultati di uno studio principale riguardante 80 pazienti con LLA la cui patologia si era ripresentata dopo il trattamento iniziale o i quali non avevano risposto al trattamento iniziale, alcuni dei quali avevano un'allergia ad altri prodotti contenenti asparaginasi.

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

La domanda è stata ritirata dopo che il CHMP aveva valutato la documentazione fornita dalla ditta e aveva formulato degli elenchi di domande. Al momento del ritiro la ditta non aveva ancora risposto all'ultima serie di domande.

Qual era la raccomandazione del CHMP a quel punto?

In base all'esame dei dati, al momento del ritiro della domanda, il CHMP aveva avuto alcuni dubbi ed era provvisoriamente del parere che Graspas non potesse essere autorizzato per il trattamento della LLA. Il CHMP era preoccupato per il modo in cui l'efficacia del medicinale era stata misurata nello studio principale e se i risultati di questo studio potessero essere estesi ai pazienti che assumevano altre combinazioni di medicinali antitumorali. Inoltre, la ditta aveva modificato la preparazione dell'asparaginasi nel medicinale e il Comitato aveva richiesto informazioni di supporto a dimostrazione che ciò non avrebbe avuto influenza sull'efficacia del prodotto.

Pertanto, al momento del ritiro della domanda, il CHMP riteneva che la ditta non avesse fornito dati sufficienti a sostegno della domanda per Graspas.

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 che la ritirava perché gli ulteriori dati che il CHMP riteneva necessari a supporto della domanda non sarebbero stati disponibili entro la tempistica stabilita.

La lettera di ritiro della domanda è consultabile [qui](#).

Quali sono le conseguenze del ritiro per i pazienti inseriti in studi clinici?

La ditta ha informato il CHMP che non vi sono conseguenze per i pazienti attualmente inseriti in studi clinici con Graspas.

Le persone inserite in uno studio clinico che abbiano bisogno di maggiori informazioni sul proprio trattamento possono consultare il medico che le sta trattando.