



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2020 m. lapkričio 13 d.
EMA/594092/2020
EMA/H/C/005123

Paraiškos gauti Puldysa (idebenono) registracijos pažymėjimą atsiėmimas

Bendrovė „Santhera Pharmaceuticals GmbH“ (Vokietija) atsiėmė savo paraišką gauti vaisto Puldysa, skirto Diišeno raumenų distrofijos gydymui, registracijos pažymėjimą.

Bendrovė paraišką atsiėmė 2020 m. spalio 28 d.

Kas yra Puldysa ir kokiais atvejais buvo numatyta jį vartoti?

Puldysa buvo kuriamas kaip vaistas, skirtas Diišeno raumenų distrofija sergančių pacientų, kurie nevartoja kortikosteroidų, kvėpavimo funkcijos silpnėjimui gydyti.

Vaisto sudėtyje yra veikliosios medžiagos idebenono ir jį buvo numatyta tiekti geriamųjų plėvele dengtų tablečių forma.

Puldysa buvo sukurtas kaip hibridinis vaistas. Tai reiškia, kad jis turėjo būti panašus į vadinamąjį referencinį vaistinį preparatą, kurio sudėtyje yra tos pačios veikliosios medžiagos ir kuris jau įregistruotas Europos Sąjungoje. Referencinis vaistinis preparatas yra Mnesis – Italijoje įregistruotas vaistas, skirtas glaukomai gydyti.

2007 m. kovo 20 d. Puldysa buvo priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai pagal Diišeno raumenų distrofijos indikaciją. Daugiau informacijos apie vaistų priskyrimą retųjų vaistų kategorijai rasite [čia](#).

Kaip veikia Puldysa?

Puldysa veikioji medžiaga idebenonas yra antioksidantas, kuris veikia mitochondrijas (ląstelės struktūrinius komponentus, gaminančius ląstelių funkcionavimui būtiną energiją). Pacientų, sergančių Diišeno raumenų distrofija, mitochondrijos veikia netinkamai ir gamina toksiškų formų deguonį, kuris pažeidžia raumenų ląsteles. Manoma, kad idebenonas padeda gerinti energijos gamybą atitaisydamas mitochondrijų funkciją ir taip užkertą kelią ląstelių pažeidimui bei raumenų, įskaitant naudojamų kvėpavimui, funkcijos praradimui.



Idebenonas taip pat įregistruotas ES pagal kognityvinių ir elgsenos sutrikimų, Friedreicho ataksijos ir paveldimos Leberio regos nervo ataksijos gydymo indikacijas.

Kokius dokumentus bendrovė pateikė kartu su paraiška?

Bendrovė pateikė trijų pagrindinių tyrimų rezultatus; juose dalyvavo 64 Diušeno raumenų distrofija sergantys pacientai, kurie nebuvo gydomi kortikosteroidais. Dviejuose tyrimuose Puldysa buvo lyginamas su placebo (vaistu be veikliosios medžiagos), o jo veiksmingumas buvo vertinamas pagal plaučių funkcijos pagerėjimą arba iškvėpavimo oro srauto (kvėpavimo funkcijos rodiklio) pokytį po vieno metų gydymo. Atliekant trečiąjį tyrimą, Puldysa gydyti pacientai buvo stebimi ilgesnį laiką, siekiant nustatyti, ar pavyko išlaikyti vaisto poveikį kvėpavimui.

Kuriuo paraiškos nagrinėjimo etapu paraiška atsiimta?

Paraiška atsiimta, kai Europos vaistų agentūra jau buvo įvertinusi bendrovės pateiktą informaciją ir parengusi bendrovei skirtus klausimus. Agentūrai įvertinus bendrovės atsakymus į paskutinį kartą pateiktus klausimus, vis dar buvo likę neišspręstų klausimų.

Kokia tuo metu buvo Agentūros rekomendacija?

Remdamasi peržiūretais duomenimis ir bendrovės atsakymais į Agentūros parengtus klausimus, paraiškos atsiėmimo metu Agentūra vis dar turėjo abejonių ir buvo priėmusi negalutinę nuomonę, kad Puldysa negali būti registruotas Diušeno raumenų distrofija sergančių pacientų, kurie nevartoja kortikosteroidų, kvėpavimo funkcijos silpnėjimo gydymui.

Agentūra laikėsi nuomonės, kad skirtinguose tyrimuose plaučių funkcijai palankus vaisto poveikis buvo nevienodas ir kad neaišku, ar tokį poveikį būtų galima išlaikyti ilgą laiką.

Todėl paraiškos atsiėmimo metu Agentūra laikėsi nuomonės, kad Puldysa teikiama nauda nėra didesnė už jo keliamą riziką.

Kokias paraiškos atsiėmimo priežastis nurodė bendrovė?

[Laiške](#), kuriuo Agentūrai pranešta apie paraiškos atsiėmimą, bendrovė nurodė paraišką atsiimanti dėl to, kad atliekamas pagrindinis tyrimas, kuris turėjo pateikti papildomų Puldysa veiksmingumo Diušeno raumenų distrofija sergantiems pacientams duomenų, buvo nutrauktas, nes numatyti tikslai nepasiekti.

Ar šios paraiškos atsiėmimas turės įtakos pacientams, dalyvaujantiems klinikiniuose tyrimuose arba labdaringo vartojimo programose?

Bendrovė informavo Agentūrą, kad visi Puldysa klinikiniai tyrimai ir labdaringo vartojimo programos, kuriomis gydoma Diušeno raumenų distrofija, nutraukiami. Klinikinių tyrimų gydytojai susisieks su pacientais, kad galėtų suorganizuoti galutinius kontrolinius vizitus.

Jeigu dalyvaujate klinikiniame tyrime arba labdaringo vartojimo programoje ir pageidaujate gauti daugiau informacijos, pasikalbėkite su savo klinikinio tyrimo gydytoju.