

Londonas, 2008 m. birželio 26 d.

Dok. Nr. EMEA/391223/2008

KLAUSIMAI IR ATSAKYMAI DĖL LENALIDOMIDE CELGENE EUROPE RINKODAROS TEISĖS PARAIŠKOS ATSIĖMIMOTarptautinis nepatentinis pavadinimas (INN): **lenalidomidas**

2008 m. gegužės 30 d. bendrovė „Celgene Europe Limited“ oficialiai pranešė Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komitetui (CHMP) apie sprendimą atsiimti mielodisplastinio sindromo sukeltai anemijai gydyti skirtą vaistinio preparato Lenalidomide Celgene Europe rinkodaros teisės paraišką. 2004 m. kovo 8 d. Lenalidomide Celgene Europe buvo priskirtas retųjų vaistų kategorijai.

Kas yra Lenalidomide Celgene Europe?

Lenalidomide Celgene Europe – tai vaistas, kurio sudėtyje yra veikliosios medžiagos lenalidomido. Lenalidomidas Europos Sąjungoje patvirtintas 2007 m. birželio mėnesį pavadinimu Revlimid ir skirtas daugybinei mielomai gydyti. Daugybė mieloma yra kaulų čiulpų plazminių ląstelių vėžys.

Kokiais atvejais buvo numatyta vartoti Lenalidomide Celgene Europe?

Lenalidomide Celgene Europe turėjo būti vartojamas mielodisplastinių sindromų – sutrikimų, kuriems būdingas kaulų čiulpų gaminamų kraujo kūnelių kiekio sumažėjimas, – sukeliama anemijai (raudonųjų kraujo kūnelių sumažėjimo ligai) gydyti. Kai kuriais atvejais mielodisplastiniai sindromai gali sukelti ūminę mieloidinę leukemiją (baltųjų kraujo kūnelių vėžį).

Lenalidomide Celgene Europe turėjo būti skirtas pacientams, kurių anemijai gydyti buvo būtinas kraujo perpylimas ir kurių mielodisplastiniai sindromai yra siejami su tam tikro geno mutavimu (5 chromosomos dalies netekimu) ir kuriems kyla maža ar vidutinė leukemijos progresavimo ar mirties rizika.

Kokio tikimasi Lenalidomide Celgene Europe veikimo?

Lenalidomide Celgene Europe veikioji medžiaga lenalidomidas yra imunomoduliuojantis vaistas. Tai reiškia, kad jis veikia imuninės (natūralios organizmo apsaugos) sistemos aktyvumą. Tiksliai nežinoma, kaip lenalidomidas veikia mielodisplastinius sindromus, bet manoma, kad jis sustabdo vėžinių ląstelių augimą kaulų čiulpuose leisdamas daugintis sveikoms kaulų čiulpų ląstelėms, taip pat raudonuosius kraujo kūnelius gaminančioms ląstelėms.

Kokius dokumentus kartu su paraiška bendrovė pateikė CHMP?

Pirmiausia Lenalidomide Celgene Europe poveikis buvo išbandytas su eksperimentiniais modeliais ir tik tada buvo tiriamas jo poveikis žmonėms.

Šio vaistinio preparato veiksmingumas buvo tiriamas viename pagrindiniame tyrime, kuris buvo atliekamas Jungtinių Amerikos Valstijų ir Vokietijos ligoninėse ir klinikose („tyrimo atlikimo vietos“). Tyrime dalyvavo 148 pacientai, kurių anemijai gydyti buvo būtinas kraujo perpylimas, jiems kilo maža ar vidutinė (1 – ojo lygio) mielodisplastinių sindromų rizika ir kurių 5 chromosomos dalis buvo panaikinta (5q delecija). Tyrimo metu buvo stebimas 10 mg per parą Lenalidomide Celgene Europe dozės veiksmingumas. Ši dozė buvo skiriama nepertraukiamai arba kartojamais trijų savaičių gydymo ir vienos savaitės pertraukos ciklais. Pagrindinis veiksmingumo rodiklis buvo pacientų, kurie tapo nepriklausomi nuo transfuzijų, dalis, t. y. kurių anemija aštuonias savaites buvo kontroliuojama neatliekant kraujo perpylimo procedūrų, dalis.

Kuriuo paraiškos nagrinėjimo etapu paraiška atsiimta?

Vertinimas buvo baigtas ir CHMP pateikė neigiamą nuomonę, kurią patvirtino po pakartotinio paraiškos nagrinėjimo. Bendrovė atsiėmė savo paraišką prieš Europos Komisijai priimant oficialų sprendimą dėl jos.

Kokia tuo metu buvo CHMP rekomendacija?

Remdamasis peržiūrėtais duomenimis ir bendrovės pateiktais atsakymais į CHMP klausimus, CHMP priėmė neigiamą nuomonę ir rekomendavo nesuteikti preparato Lenalidomide Celgene Europoje rinkodaros teisės pagal indikaciją – mielodisplastinių sindromų sukeltos anemijos gydymas.

Kas CHMP tuo metu kėlė didžiausią susirūpinimą?

CHMP didžiausią susirūpinimą kėlė tyrimo atlikimo būdas, t. y. buvo sunku tinkamai įvertinti Lenalidomide Celgene Europoje saugumą. Kadangi tyrime gydymas šiuo preparatu nebuvo lyginamas su jokių kitų gydymu, buvo sunku nustatyti, ar Lenalidomide Celgene Europoje padidina riziką susirgti ūmine mieloidine leukemija. Be to, vienos iš pagrindinio tyrimo atlikimo vietų patikrinimas parodė, kad rezultatai buvo registruojami netinkamai, o tai galėjo turėti įtakos pagrindinio tyrimo patikimumui.

Taigi, paraiškos atsiėmimo metu, CHMP laikėsi nuomonės, kad Lenalidomide Celgene Europoje nauda nebuvo pakankamai įrodyta ir kad ji neviršija nustatytos rizikos.

Kokias paraiškos atsiėmimo priežastis nurodė bendrovė?

Bendrovės laišką, kuriame Europos vaistų agentūrai pranešama apie paraiškos atsiėmimą, galima rasti čia.

Kokios yra paraiškos atsiėmimo pasekmės pacientams, dalyvaujantiems klinikiniuose tyrimuose arba Lenalidomide Celgene Europoje vartojimo labdaros tikslu programose?

Bendrovė informavo, kad ir toliau tiek lenalidomidą klinikiniuose tyrimuose ar vartojimo labdaros tikslu programose dalyvaujantiems pacientams. Jei dalyvaujate klinikiniuose tyrimuose arba preparato naudojimo labdaros tikslu programoje ir pageidaujate gauti išsamesnės informacijos apie gydymą, kreipkitės į savo gydytoją.

Kokių pasekmių tai turės daugybinės mielomos gydymui preparatu Revlimid?

Šios paraiškos atsiėmimas neturės jokių pasekmių Revlimid, kurio sudėtyje taip pat yra lenalidomido, vartojimui pagal patvirtintą indikaciją. Revlimid naudos ir rizikos santykis išlieka nepakitęs.