

Londonas, gegužės mėn. 30 d., 2008

Dok. Nr. EMEA/304446/2008

KLAUSIMAI IR ATSAKYMAI DĖL PREPARATO ORBEC RINKODAROS TEISĖS PARAIŠKOS ATSIĖMIMO

Tarptautinis nepatentinis pavadinimas (INN): **beklametazono dipropionatas**

2008 m. gegužės 22 d. bendrovė DOR BIOPHARMA UK Ltd oficialiai pranešė Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komitetui (CHMP) apie savo pageidavimą atsiimti paraišką dėl preparato orBec rinkodaros teisės suteikimo pagal virškinimo sistemos transplantato prieš šeimininką ligos indikaciją. orBec buvo priskirtas retųjų vaistų kategorijai 2002 m. kovo 13 d.

Kas yra orBec?

orBec yra vaistas, kurio veiklioji medžiaga yra beklametazono dipropionatas. Jis buvo teikiamas kaip dvi atskiros tabletės, kurias reikia išgerti kartu: Viena greitai atsipalaiduojanti tabletė (greitai atsipalaiduojanti reiškia, jog tabletė pagaminta taip, kad veiklioji medžiaga išsiskirtų tuoj pat) ir viena skrandžio sultims atspari tabletė (skrandžio sultims atspari tabletė reiškia, kad tabletės turinys pereina per skrandį nesuiręs, kol pasiekia žarnyną).

Kokiais atvejais buvo numatyta vartoti orBec?

OrBec buvo numatytas vartoti gydant virškinimo sistemos transplantato prieš šeimininką ligą. Transplantato prieš šeimininką ligą atsiranda pacientams po audinių ar organų transplantacijos, kai transplantuoto audinio ar organo ląstelės pacientą pripažįsta kaip svetimą ir puola organizmą. Pacientams, sergantiems virškinimo sistemos transplantato prieš šeimininką ligą, pažeidžiamas skrandis ir žarnynas, o tai sukelia sunkų šių organų uždegimą.

Kokio tikimasi orBec veikimo?

Veiklioji orBec medžiaga, beklametazono dipropionatas, yra kortikosteroidas, naudojamas inhaliuojamų, nosies ir odos vaistų gamyboje nuo 1970 m. Jis slopina imuninės sistemos (natūralios organizmo apsaugos) aktyvumą, prisijungdamas prie įvairių imuninių ląstelių receptorių. Preparato orBec beklametazono dipropionato forma buvo geriamoji, kad galėtų veikti skrandyje ir žarnyne. Buvo tikimasi, kad jis blokuos receptorius skrandyje ir žarnyne ir tose vietose sumažins medžiagų, kurios dalyvauja atpažįstant svetimas ląsteles ir dalyvauja uždegimo procese, gamybą. Buvo tikimasi, kad tai lems skrandžio ir žarnyno pažeidimo sumažėjimą.

Kokius dokumentus bendrovė pateikė CHMP kartu su paraiška?

Pareiškėja pateikė duomenis apie beklametazono dipropionato eksperimentinius modelius, remdamasi moksline literatūra.

Preparato orBec veiksmingumas buvo tirtas viename pagrindiniame tyrime, kuriame orBec buvo palygintas su placebo (gydomojo poveikio neturinčiu preparatu). Tyrime dalyvavo 129 pacientai, sergantys virškinimo sistemos transplantato prieš šeimininką ligą. Pagrindinis veiksmingumo kriterijus buvo laikas, per kurį nepavyko išgydyti per 50 dienų gydymo laikotarpį.

Kuriuo paraiškos nagrinėjimo etapu paraiška atsiimta?

Paraiška atsiimta 180-ą jos nagrinėjimo dieną.

CHMP įvertinus bendrovės atsakymus į sąrašą pateiktus klausimus vis dar liko neišspręstų klausimų. Paprastai CHMP naują paraišką nagrinėja ne ilgiau kaip 210 dienų. Remdamasis pateikta pirmine dokumentacija, CHMP parengia klausimų sąrašą (120-tą dieną), kuris nusiunčiamas bendrovei.

Bendrovei pateikus atsakymus į klausimus, CHMP juos peržiūri ir prieš pateikdamas savo nuomonę gali užduoti bet kokių jam kylančių klausimų 180-tą dieną. CHMP pateikus nuomonę, Europos Komisija per maždaug du mėnesius suteikia rinkodaros teisę.

Kokia tuo metu buvo CHMP rekomendacija?

Remdamasis išnagrinėtais duomenimis ir atsakymais, kuriuos bendrovė pateikė į CHMP sąrašo klausimus paraiškos atsiėmimo laikotarpiu, CHMP dar turėjo abejonių ir buvo priėmęs negalutinę nuomonę, kad pagal virškinimo sistemos transplantato prieš šeimininką ligos indikaciją vartojamo preparato orBac rinkodaros teisės suteikti negalima.

Kas CHMP tuo metu kėlė didžiausią susirūpinimą?

CHMP kėlė susirūpinimą, kad vienas pagrindinis tyrimas neparodo orBec veiksmingumo. orBec nebuvo patikimai geresnis nei placebo ilginant laiką, kol liga regresuos 50 dienų gydymo laikotarpiu. CHMP taip pat kėlė susirūpinimą, kad dauguma pacientų, kurie dalyvavo tyrime, buvo iš vieno tyrimo centro, todėl rezultatai neatspindi visos populiacijos. Be to, Komitetas pastebėjo, kad trūko duomenų, kurie rodytų, kaip orBec veiklioji medžiaga veikia skrandyje ir žarnyne, kai vaistas naudojamas gydant virškinimo sistemos transplantato prieš šeimininką ligą.

Taigi paraiškos atsiėmimo metu CHMP laikėsi nuomonės, kad preparato orBec teikiama nauda nebuvo pakankamai įrodyta ir ji nėra didesnė už nustatytą jo keliamą riziką.

Kokias paraiškos atsiėmimo priežastis nurodė bendrovė?

Bendrovės laišką EMEA dėl paraiškos atsiėmimo galima rasti [čia](#).

Kokios atsiėmimo pasekmės pacientams, dalyvaujantiems klinikiniuose tyrimuose arba orBec naudojimo labdaros programose?

Bendrovė pranešė CHMP, kad pacientams, šiuo metu dalyvaujantiems klinikiniuose tyrimuose arba preparato orBec labdaringo vartojimo programose, paraiškos atsiėmimas neturės jokių pasekmių. Jei dalyvaujate klinikiniuose tyrimuose arba labdaringo vartojimo programoje ir pageidaujate gauti išsamesnės informacijos apie gydymą, kreipkitės į Jus gydantį gydytoją.