



Londonas, 2008 m. birželio 26 d.
Dok. Nr. EMEA/378423/2008

KLAUSIMAI IR ATSAKYMAI DĖL SPANIDIN RINKODAROS TEISĖS PARAIŠKOS ATSIĖMIMO

Tarptautinis nepatentinis pavadinimas (INN): *gusperimuzas*

2008 m. birželio 17 d. bendrovė „Euro Nippon Kayaku GmbH“ oficialiai pranešė Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komitetui (CHMP) apie sprendimą atsiimti preparato Spanidin, skirto sukelti remisiją kliniškai atsparia Wegener’io granulomatoze sergantiems suaugusiems pacientams, rinkodaros teisės paraišką. 2001 m. kovo 29 d. Spanidin buvo priskirtas retųjų vaistų kategorijai.

Kas yra Spanidin?

Spanidin yra milteliai, iš kurių gaminamas injekcinis tirpalas. Šio vaistinio preparato sudėtyje yra veikliosios medžiagos gusperimuzo.

Kokiais atvejais buvo numatyta vartoti Spanidin?

Spanidin turėjo būti skiriamas kontroliuoti Wegener’io granulomatozės simptomus pacientams, kuriems kiti gydymo būdai buvo neveiksmingi. Wegener’io granulomatozė yra reta, autoimuninė liga (liga, kurią sukelia paties organizmo apsaugos sistema, naikinanti sveikus audinius). Sergant šia liga, imuninė sistema kenkia neutrofilams (baltųjų kraujo kūnelių rūšis), taip sukeldama smulkių ir vidutinių kraujagyslių uždegimą ir granulomų (baltųjų kraujo kūnelių darinių) susidarymą. Tai sukelia tam tikrus simptomus, kurie daugiausia kenkia kvėpavimo takams, plaučiams ir inkstams. Jei liga negydoma, ji gali pažeisti organus ar sukelti paciento mirtį.

Kokio tikimasi Spanidin veikimo?

Veiklioji Spanidin medžiaga, gusperimuzas, yra imunitetą slopinantis, t. y. imuninės sistemos (organizmo natūralios apsaugos sistemos) aktyvumą mažinantis vaistinis preparatas. Manoma, kad šis vaistinis preparatas veikia Wegener’io granulomatozę, slopindamas kraujagyslių uždegimą sukeliančių baltųjų kraujo kūnelių, vadinamų limfocitais, augimą ir aktyvumą. Sumažindamas limfocitų skaičių ir sutrikdydamas jų veikimą, Spanidin sumažina ligos simptomus rodančių kraujagyslių uždegimą.

Kokius dokumentus kartu su paraiška bendrovė pateikė CHMP?

Pirmiausia Spanidin poveikis buvo išbandytas su eksperimentiniais modeliais ir tik tada buvo tiriamas jo poveikis žmonėms.

Spanidin buvo tiriamas viename pagrindiniame tyrime, kuriame dalyvavo 45 atsparios formos (kurios neveikia standartinis gydymas) Wegener’io granulomatoze sergantys pacientai. Preparatas Spanidin jiems buvo skiriamas šešių ciklų metu. Kiekvieną ciklą sudarė trys gydymo preparatu Spanidin savaitės ir vienos savaitės pertrauka. Pagrindinis veiksmingumo rodiklis buvo pacientų, kuriems gydymo metu liga atslūgo (nebuvo ligos progresavimo požymių) mažiausiai du mėnesius, skaičius. Šiame tyrime gydymas preparatu Spanidin nebuvo lyginamas su jokių kitų vaistinių preparatų, bet pacientai kartu su Spanidin galėjo vartoti kortikosteroidus (imunosupresinius vaistus).

Kuriuo paraiškos nagrinėjimo etapu paraiška atsiimta?

Bendrovė paraišką atsiėmė 194-ąją 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-ąją dieną), kuris nusiunčiamas bendrovei. Kai

bendrovė pateikia atsakymus į klausimus, CHMP juos peržiūri ir prieš pateikdamas savo nuomonę 180-ąją paraiškos svarstymo dieną gali užduoti bet kokių jam dar kylančių klausimų. CHMP pateikęs nuomonę, Europos Komisija sprendimą dėl rinkodaros teisės suteikimo priima per maždaug du mėnesius.

Kokia tuo metu buvo CHMP rekomendacija?

Remdamasis duomenimis ir atsakymais, kuriuos bendrovė pateikė į CHMP klausimų sąrašą, paraiškos atsiėmimo metu CHMP dar turėjo abejonių ir buvo priėmęs negalutinę nuomonę, kad preparatui Spanidin, vartojamam sukelti remisiją kliniškai atsparia Wegener'io granulomatoze sergantiems pacientams, rinkodaros teisės suteikti negalima.

Kas tuo metu CHMP kėlė didžiausią susirūpinimą?

CHMP susirūpinimą kėlė tai, kad pagrindinis tyrimas nepakankamai įrodė Spanidin veiksmingumą. To priežastis – tyrimo parengimo ir atlikimo būdas. Reikia pabrėžti, kad tyrime dalyvavo pacientai, kurie galėjo vartoti kitus vaistus jų ligos gydymui, todėl jie negalėjo būti laikomi refraktoriniais. Be to, gydymas Spanidin nebuvo lyginamas su jokių kitų vaistinių preparatų, todėl nebuvo įmanoma atskirti Spanidin ir steroidų poveikio. Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komitetui nerimą taip pat kėlė tai, kad kai kuriems tyrime dalyvavusiems pacientams indukcinis gydymas buvo nebūtinasis, o kitiems pacientams nebuvo klasikinės Wegener'io granulomatozės, paveikiančios kvėpavimo takus, plaučius ar inkstus, simptomų.

CHMP pažymėjo, kad reiktų dar vieno papildomo tyrimo, norint išsklaidyti visas šias abejones. Jame turėtų dalyvauti pacientai, kuriems kiti gydymo būdai yra iš tiesų neveiksmingi, arba tai turėtų būti tyrimas, kuriame Spanidin būtų tiesiogiai lyginamas su ciklofosfamidu (standartinis remisijos, sergant Wegener'io granulomatoze, sukėlimo būdas).

Taigi, paraiškos atsiėmimo metu, komitetas laikėsi nuomonės, kad Spanidin nauda nebuvo pakankamai įrodyta ir kad ji neviršija nustatytos rizikos.

Kokias paraiškos atsiėmimo priežastis nurodė bendrovė?

Bendrovės laišką, pranešantį EMEA apie paraiškos atsiėmimą, galima rasti [čia](#).

Kokios pasekmės pacientams, dalyvaujantiems klinikiniuose tyrimuose, ir (arba) Spanidin naudojimo labdaros programose?

Bendrovė pranešė CHMP, kad pacientams, šiuo metu dalyvaujantiems klinikiniuose tyrimuose arba Spanidin vartojimo labdaros tikslu programose, paraiškos atsiėmimas neturės jokių pasekmių. Jei dalyvaujate klinikiniuose tyrimuose arba preparato naudojimo labdaros tikslu programoje ir pageidaujate gauti išsamesnės informacijos apie gydymą, kreipkitės į savo gydytoją.