

Londonas, 2009 m. rugpjūčio 20 d
Dok. Nr. EMEA/702716/2009
EMA/H/C/1069

**Klausimai ir atsakymai dėl preparato
Bosatria (*mepolizumabas*)
rinkodaros teisės paraiškos atsiėmimo**

2009 m. liepos 28 d. bendrovė „Glaxo Group Limited“ oficialiai pranešė Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komitetui (CHMP) apie savo pageidavimą atsiimti preparato Bosatria, skirto hipereozinofiliniu sindromu sergantiems suaugusiems gydyti, siekiant mažinti arba eliminuoti gydymo kortikosteroidais poreikį ir mažinti eozinofilų skaičių kraujyje, rinkodaros teisę.

Kas yra Bosatria?

Bosatria yra milteliai, iš kurių ruošiamas infuzinis (į veną lašinamas) tirpalas. Preparato sudėtyje yra veikliosios medžiagos mepolizumabo.

Kokiais atvejais buvo numatyta vartoti Bosatria?

Bosatria buvo numatyta gydyti hipereozinofiliniu sindromu sergančius suaugusiuosius. Tai yra liga, kuria sergant kraujyje pradeda nevaldomai daugėti eozinofilų (tam tikros rūšies baltųjų kraujo kūnelių), jie kaupiasi daugelio organų audiniuose ir gali pakenkti tokiems organams kaip širdis, kepenys ir plaučiai. Bosatria buvo numatyta skirti pacientams, kurie neturi vadinamojo susiliejusio geno FIP1L1-PDGFR, siekiant mažinti arba eliminuoti poreikį juos gydyti kortikosteroidais (ligai gydyti skirtais steroidais) ir mažinti eozinofilų skaičių kraujyje.

2004 m. liepos 29 d. Bosatria buvo priskirtas retųjų vaistinių preparatų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistinių preparatų), kurie skirti gydyti hipereozinofilinį sindromą, kategorijai.

Kokio tikimasi Bosatria veikimo?

Veiklioji Bosatria medžiaga mepolizumabas yra monokloninis antikūnas. Monokloninis antikūnas yra antikūnas (tam tikras baltymas), kurio paskirtis – atpažinti organizme randamą specifinę struktūrą (vadinamąjį antigeną) ir prie jos prisijungti. Mepolizumabas buvo sukurtas tam, kad prisijungtų prie eozinofilų augimą skatinančio cheminio mediatoriaus interleukino 5 (IL-5). Tikėtasi, kad prisijungęs prie IL-5, mepolizumabas mažins eozinofilų kaupimąsi kraujyje ir taip slopins hipereozinofiliniu sindromu sergantiems pacientams pasireiškiančius simptomus.

Kokius dokumentus bendrovė pateikė CHMP kartu su paraiška?

Pirmiausia preparato Bosatria poveikis buvo išbandytas su eksperimentiniais modeliais ir tik tada buvo tiriamas jo poveikis žmonėms. Atliekant vieną pagrindinį tyrimą, kuriame dalyvavo 85 hipereozinofiliniu sindromu sergantys suaugusieji pacientai, Bosatria buvo lyginamas su placebo (veikliosios medžiagos neturinčiu preparatu). Nė vienas pacientas neturėjo susiliejusio geno FIP1L1-PDGFR, ir jiems buvo taikomas gydymas prednizonu (kortikosteroidu), kuris padėjo stabilizuoti jiems pasireiškiančius simptomus. Tyrimo metu pacientams buvo skiriamas arba Bosatria, arba placebo, o jiems skirta prednizono dozė buvo laipsniškai mažinama. Pagrindinis veiksmingumo rodiklis buvo pacientų, kuriems aštuonias savaites buvo galima skirti iki 10 mg per parą sumažintą arba dar mažesnę prednizono dozę, skaičius.

Kuriuo paraiškos nagrinėjimo etapu paraiška atsiimta?

Paraiška atsiimta 180-ąją jos nagrinėjimo dieną. CHMP įvertinus bendrovės atsakymus į sąrašę 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. Bendrovei pateikus atsakymus į klausimus, CHMP juos peržiūri ir prieš pateikdamas savo nuomonę gali užduoti bet kokių jam kylančių klausimų 180-ąją dieną. CHMP pateikus nuomonę, Europos Komisija per maždaug du mėnesius paskelbia sprendimą dėl šios nuomonės.

Kokia tuo metu buvo CHMP rekomendacija?

Remdamasis peržiūrėtais duomenimis ir atsakymais, kuriuos bendrovė pateikė į CHMP sąrašo klausimus paraiškos atsiėmimo metu, CHMP dar turėjo abejonių ir buvo priėmęs negalutinę nuomonę, kad Bosatria, skirto hipereozinofiliniu sindromu sergantiems ir susiliejusio geno FIP1L1-PDGFR neturintiems suaugusiems gydyti, siekiant mažinti arba eliminuoti gydymo kortikosteroidais poreikį ir mažinti eozinofilų skaičių kraujyje, rinkodaros teisės suteikti negalima.

Kas CHMP tuo metu kėlė didžiausią susirūpinimą?

CHMP nusprendė, kad pagrindinio tyrimo duomenų nepakanka įrodyti, kad Bosatria veiksmingai mažina gydymo kortikosteroidais poreikį. Taip pat CHMP rūpestį kėlė tai, kad bendrovė naudojo netinkamą skirtingų formų veikliosios medžiagos kiekio vaistiniame preparate nustatymo būdą. Taigi paraiškos atsiėmimo metu CHMP laikėsi nuomonės, kad preparato Bosatria teikiama nauda nėra didesnė už nustatytą jo keliamą riziką, gydant hipereozinofiliniu sindromu sergančius ir susiliejusio geno FIP1L1-PDGFR neturinčius suaugusiuosius, siekiant mažinti arba eliminuoti gydymo kortikosteroidais poreikį ir mažinti eozinofilų skaičių kraujyje.

Kokias paraiškos atsiėmimo priežastis nurodė bendrovė?

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

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

Bendrovė pranešė CHMP, kad preparato Bosatria ir toliau galės gauti pacientai, kurie dalyvauja atvirame išplėstiniame tyrime ir preparato naudojimo labdaros programose. Jei dalyvaujate klinikiniame tyrime arba labdaringo vartojimo programoje ir pageidaujate gauti išsamesnės informacijos apie gydymą, kreipkitės į Jus gydantį gydytoją.

Retųjų vaistų komiteto nuomonės dėl preparato Bosatria santrauką galima rasti [čia](#).