

Londonas, 2009 m. liepos 23 d.
Dok. Nr. EMA/123935/2010
EMA/H/C/1041

**Klausimai ir atsakymai dėl preparato Contusugene Ladenovec Gendux rinkodaros
teisės paraiškos atsiėmimo
*contusugene ladenovec***

2009 m. birželio 12 d. bendrovė „Gendux Molecular Limited“ oficialiai pranešė Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komitetui (CHMP) apie savo pageidavimą atsiimti paraišką vaistinio preparato Contusugene Ladenovec Gendux, skirto recidyvavusiai arba refrakterinei galvos ir kaklo plokščialąstelinei karcinomai gydyti, rinkodaros teisei gauti.

Kas yra Contusugene Ladenovec Gendux?

Contusugene Ladenovec Gendux yra injekcinė suspensija, kurios sudėtyje yra veikliosios medžiagos *contusugene ladenovec*.

Contusugene Ladenovec Gendux yra vienas iš pažangiosios terapijos vaistų, vadinamas genų terapijos preparatu. Tai vaistinis preparatas, kuris veikia pernešdamas genus į organizmo ląsteles. Tuomet nauji genai priverčia organizmą gaminti arba nustoti gaminti baltymą, kuris gali padėti gydyti ligą.

Kokiais atvejais buvo numatyta vartoti Contusugene Ladenovec Gendux?

Preparatu Contusugene Ladenovec Gendux buvo numatyta gydyti plokščialąstelinę galvos ir kaklo karcinomą (tai vėžys, kuris pradeda formotis burnos, nosies, gerklės arba ausų dengiamojo epitelio ląstelėse). Preparatą ketinta naudoti gydant refrakterinį (gydymo nepaveikiamą) arba recidyvavusį (atsinaujinantį) vėžį.

Kokio tikimasi Contusugene Ladenovec Gendux veikimo?

Veiklioji Contusugene Ladenovec Gendux medžiaga *contusugene ladenovec* yra virusas, kuris buvo modifikuotas taip, kad galėtų pernešti geną p53 į organizmo ląsteles.

Buvo tikimasi, kad sušvirkštas į naviką, Contusugene Ladenovec Gendux perneš geną p53 į vėžio ląsteles, kur šis privers ląstelę gaminti daugiau baltymo p53. Paprastai baltymas p53 padeda atkurti pažeistą DNR, sukelia ląstelės žūtį, jeigu DNR nebegalima atkurti, ir padeda kontroliuoti kraujagyslių formavimąsi. Kadangi vėžio ląstelių DNR yra pažeista, baltymas p53 padeda atkurti DNR arba sukelia ląstelių žūtį. Baltymas p53 taip pat slopina kraujagyslių, kuriomis vėžio ląstelės aprūpinamos krauju, formavimąsi.

Buvo tikimasi, kad skatindamas baltymo p53 gamybą, Contusugene Ladenovec Gendux išgydys vėžį arba sulėtins jo augimą.

Contusugene Ladenovec Gendux sudėtyje esantis virusas yra adenovirusas, kuris buvo modifikuotas taip, kad negalėtų žmonėms sukelti ligų.

Kokius dokumentus bendrovė pateikė CHMP kartu su paraiška?

Pirmiausia Contusugene Ladenovec Gendux poveikis buvo išbandytas su eksperimentiniais modeliais ir tik tada buvo tiriamas jo poveikis žmonėms. Vieno pagrindinio tyrimo, kuriame dalyvavo 123 refrakterine arba recidyvavusia plokščialąsteline galvos ir kaklo karcinoma sergantys pacientai, Contusugene Ladenovec Gendux buvo lyginamas su metotreksatu (kitu vaistu nuo vėžio). Pagrindinis veiksmingumo rodiklis buvo pacientų išgyvenimo trukmė.

Kuriuo paraiškos nagrinėjimo metu paraiška atsiimta?

Paraiška atsiimta 120-tą jos nagrinėjimo dieną, 2008 m. CHMP parengė klausimų sąrašą bendrovei. Bendrovė turėjo pateikti atsakymus Pažangiosios terapijos komitetui, vadovaudamasi naujomis Europos Sąjungos pažangiosios terapijos taisyklėmis. Tačiau bendrovė atsiėmė savo paraišką, prieš pateikdama atsakymus į klausimus.

Kokia tuo metu buvo CHMP rekomendacija?

Remdamasis peržiūrėtais duomenimis paraiškos atsiėmimo metu CHMP dar turėjo abejonių ir buvo priėmęs negalutinę nuomonę, kad pagal recidyvavusios arba refrakterinės plokščiakūstelinės galvos ir kaklo karcinomos indikaciją preparato Contusugene Ladenovec Gendux rinkodaros teisės suteikti negalima.

Kas CHMP tuo metu kėlė didžiausią susirūpinimą?

Komitetas laikėsi nuomonės, kad bendrovė neįrodė, jog Contusugene Ladenovec Gendux yra naudingas pacientams. Be to, bendrovė nepateikė pakankamai duomenų, įrodančių, kad preparatas yra saugus, kad jį galima gaminti patikimu būdu ar kad jis nedarys žalos aplinkai arba žmonėms, artimai bendraujantiems su pacientu.

Taip pat CHMP atkreipė dėmesį, kad nepakanka informacijos apie preparato toksinį poveikį, jo pasiskirstymą organizme ir kai kurių preparato sudėtyje esančių genų ir priemonių poveikį.

Kokias paraiškos atsiėmimo priežastis nurodė bendrovė?

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

Kokios pasekmės pacientams, dalyvaujantiems klinikiniuose tyrimuose arba Contusugene Ladenovec Gendux naudojimo labdaros programose?

Bendrovė nepranešė agentūrai apie Contusugene Ladenovec Gendux klinikiniuose tyrimuose ar labdaringo vartojimo programose dalyvaujančius pacientus.