

2013 m. sausio 17 d.
EMA/823071/2012
EMA/H/C/2501

Klausimai ir atsakymai

Paraiškos gauti Loulla (merkaptopurino) rinkodaros leidimą atsiėmimas

2012 m. gruodžio 19 d. bendrovė „Only For Children Pharmaceuticals“ oficialiai pranešė Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komitetui (CHMP) apie savo pageidavimą atsiimti paraišką gauti Loulla, skirtą ūminės limfoblastinės leukemijos palaikomajam gydymui, rinkodaros leidimą.

Kas yra Loulla?

Loulla – tai vaistas, kurio sudėtyje yra veikliosios medžiagos merkaptopurino. Jį buvo numatyta tiekti tabletėmis ir tirpalo, iš kurio ruošama geriamoji suspensija (10 mg/ml), forma.

Kokiais atvejais buvo numatyta vartoti Loulla?

Loulla buvo numatyta vartoti taikant palaikomąjį ūminės limfoblastinės leukemijos (ŪLL, baltųjų kraujo kūnelių limfocitų vėžio) gydymą.

2007 m. spalio 22 d. Loulla priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai, taip pat buvo patvirtintas šio vaisto vartojimas pagal ŪLL gydymo indikaciją.

Kokio tikimasi Loulla veikimo?

Šio vaisto veikliosios medžiagos merkaptopurino cheminė struktūra panaši į purinų, vienos iš pagrindinių cheminių medžiagų, iš kurių sudaryta DNR, cheminę struktūrą. Patekęs į organizmą, ląstelėse merkaptopurinas pavirsta į medžiagą, kuri trikdo naujos DNR gamybą. Todėl ląstelės negali dalytis. Sergant ŪLL, limfocitai dauginasi pernelyg greitai ir gyvena pernelyg ilgai. Merkaptopurinas neleidžia limfocitams dalytis ir jie galiausiai žūsta, todėl leukemija progresuoja ne taip greitai.

Europos Sąjungoje (ES) ŪLL sergantys pacientai jau daugelį metų gydomi tabletės formos vaistais su merkaptopurinu. Xaluprine – geriamosios suspensijos, kurio sudėtyje yra merkaptopurino, – rinkodaros ES leidimas pagal ŪLL gydymo indikaciją suteiktas 2012 m. kovo 9 d.

Kokius dokumentus bendrovė pateikė kartu su paraiška?

Kadangi Xaluprine yra retasis vaistas, 2012 m. kovo mėn. suteikiant šio vaisto rinkodaros leidimą buvo nustatytas 10 metų jo rinkos išimtinumo laikotarpis. Dėl šios rinkos išimtinumo sąlygos iki 2022 m. kovo mėn. nebus galima suteikti panašių vaistų nuo tos pačios ligos rinkodaros leidimų.

Kadangi CHMP laikėsi nuomonės, jog Loulla panašus į Xaluprine, su Loulla susijusi bendrovė pateikė paraišką dėl teisinės išimties, kuri būtų sudariusi galimybę, įrodžius Loulla klinikinį pranašumą, suteikti jo rinkodaros leidimą, nepaisant Xaluprine rinkos išimtinumo sąlygos. Bendrovės paraiška dėl išimties pateikė argumentuodama tuo, kad Loulla yra malonesnio skonio nei Xaluprine ir kad jo sudėtyje esančios pagalbinės medžiagos yra saugesnės. Bendrovė taip pat teigė, kad vartoti Loulla yra saugiau, nes dėl talpyklės konstrukcijos ypatumų kyla mažesnis išsiliejimo ir netyčinio perdozavimo pavojus. Bendrovė pateikė savo bylą su duomenimis apie Loulla klinikinį pranašumą, į kurią buvo įtraukti nedidelio klinikinio tyrimo su vaikais ir jaunais suaugusiais rezultatai.

Kuriuo paraiškos nagrinėjimo etapu paraiška atsiimta?

Paraiška atsiimta CHMP įvertinus bendrovės pateiktą ataskaitą ir parengus klausimų sąrašą. Paraiškos atsiėmimo metu bendrovė dar nebuvo atsakiusi į šiuos klausimus.

Kokia tuo metu buvo CHMP rekomendacija?

Remdamasis peržiūrėtos ataskaitos duomenimis, CHMP turėjo abejonių ir buvo priėmęs negalutinę nuomonę, kad Loulla nėra kliniškai pranašesnis už Xaluprine ir negali būti registruotas ŪLL gydymui.

CHMP laikėsi nuomonės, jog nėra jokių tinkamų įrodymų, kad pacientams Loulla turėtų bent vieną svarbų pranašumą prieš Xaluprine. Nors CHMP sutiko, jog buvo įrodyta, kad Loulla yra skanesnis vaikams, komitetas nesutiko, kad dėl Loulla sudėties ar jo talpyklės konstrukcijos ypatumų vartoti ir naudoti šį vaistą saugiau nei Xaluprine.

Be to, trijų klinikinio tyrimo centrų patikra atskleidė, kad tyrimas buvo atliktas nesilaikant visų geros klinikinės praktikos reikalavimų ir sukėlė abejonių dėl viename iš centrų surinktų rezultatų patikimumo.

Todėl paraiškos atsiėmimo metu CHMP laikėsi nuomonės, kad bendrovė neįrodė Loulla klinikinio pranašumo prieš Xaluprine.

Kokias paraiškos atsiėmimo priežastis nurodė bendrovė?

Laiške, kuriuo agentūrai pranešta apie paraiškos atsiėmimą, bendrovė nurodė, kad atsiimti paraišką nusprendė todėl, kad CHMP laikėsi nuomonės, jog pateikta nepakankamai įrodymų, kad Loulla yra kliniškai pranašesnis už Xaluprine.

Laišką dėl paraiškos atsiėmimo galima rasti [čia](#).

Kokių pasekmių paraiškos atsiėmimas turės pacientams, dalyvaujantiems klinikiniuose tyrimuose arba labdaringo vartojimo programose?

Bendrovė informavo CHMP, kad paraiškos atsiėmimas neturės jokių pasekmių pacientams, šiuo metu dalyvaujantiems Loulla klinikiniuose tyrimuose arba labdaringo vartojimo programose.

Jeigu dalyvaujate klinikiniame tyrime arba labdaringo vartojimo programoje ir pageidaujate gauti daugiau informacijos apie Jums taikomą gydymą, kreipkitės į Jus gydantį gydytoją.

Retųjų vaistinių preparatų komiteto nuomonės dėl Loulla santrauką galima rasti agentūros interneto svetainėje ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.