

2011 m. sausio 20 d.
EMA/13310/2011
EMA/H/C/001244

Klausimai ir atsakymai

Tekinex (omacetaksino mepesukcinato) rinkodaros teisės paraiškos atsiėmimas

2011 m. sausio 11 d. bendrovė „ChemGenex Europe SAS“ oficialiai pranešė Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komitetui (CHMP) apie savo pageidavimą atsiimti savo paraišką suteikti vaisto Tekinex, kuriuo buvo numatyta gydyti lėtine mieloleukemija sergančius pacientus, kuriems nustatyta Filadelfijos chromosoma ir Bcr-Abl T315I kinazės domeno mutacija ir kuriems anksčiau taikytas gydymas imatinibu buvo nesėkmingas, rinkodaros teisę.

Kas yra Tekinex?

Tekinex yra vaistas, kurio sudėtyje yra veikliosios medžiagos omacetaksino mepesukcinato. Jį buvo numatyta tiekti milteliais, iš kurių ruošiamas injekcinis tirpalas.

Kokiais atvejais buvo numatyta vartoti Tekinex?

Tekinex buvo numatyta gydyti lėtine mieloleukemija (LML, baltųjų kraujo kūnelių granulocitų vėžiu) sergančius suaugusiuosius, kuriems nustatyta vadinamoji Filadelfijos chromosoma (angl. *Philadelphia chromosome positive*, (Ph+)). Tai reiškia, kad kai kurie paciento genai pasikeitė taip, kad susiformavo ypatinga chromosoma, vadinama Filadelfijos chromosoma, kuri gamina fermentą Bcr-Abl kinazę, dėl kurios susergama leukemija.

Šiuo vaistu buvo numatyta gydyti pacientus, kuriems anksčiau taikytas gydymas imatinibu (kitu vaistu nuo vėžio) buvo nesėkmingas ir tai tikriausiai lėmė už Bcr-Abl kinazę atsakingo geno mutacija (vadinama T315I mutacija).

Kadangi LML sergančių pacientų skaičius nedidelis, ši liga laikoma reta, Tekinex 2004 m. rugsėjo 2 d. buvo priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai.

Kokio tikimasi Tekinex veikimo?

Veiklioji Tekinex medžiaga omacetaksinas yra baltymų sintezės inhibitorius. Jis gaminamas iš harringtonino (angl. *harringtonine*) – medžiagos, kuri išgaunama iš kininio visžalio augalo. Jo veikimo mechanizmas neaiškus, tačiau manoma, kad jis stabdo Bcr-Abl tirozino kinazės fermento gamybą.

Kiti vaistai, kurie yra tirozino kinazės inhibitoriai, įskaitant imatinibą, gydant LML tiesiogiai jungiasi su Bcr-Abl tirozino kinazės fermentu. T315I mutacija pakeičia tam tikras fermento savybes, todėl šiems vaistams sunkiau prie jo prisijungti. Kadangi omacetaksinas veikia kitaip, T315I mutacija neturi įtakos jo veikimui. Todėl manyta, kad Tekinex bus veiksmingas gydant pacientus, kuriems nustatyta Filadelfijos chromosoma ir T315I mutacija.

Kokius dokumentus bendrovė pateikė kartu su paraiška?

Pirmiausia Tekinex poveikis buvo išbandytas su eksperimentiniais modeliais ir tik tada buvo tiriamas jo poveikis žmonėms. Bendrovė pateikė vieno pagrindinio tyrimo rezultatus; jame dalyvavo 66 LML sergantys pacientai, kuriems nustatyta Filadelfijos chromosoma ir T315I mutacija ir kuriems anksčiau taikytas gydymas imatinibu buvo nesėkmingas. Tekinex nebuvo tiesiogiai lyginamas su jokia kita gydymo priemone. Atliekant tyrimą, buvo analizuojamas gydymo poveikis pacientams, remiantis jų kraujo tyrimų vėžio aktyvumui nustatyti rezultatais.

Kuriuo paraiškos nagrinėjimo etapu paraiška atsiimta?

Paraiška atsiimta 120-ą jos nagrinėjimo dienos. Tai reiškia, kad CHMP buvo įvertinęs bendrovės pateiktus pirminius dokumentus ir parengęs klausimų sąrašą. Paraiškos atsiėmimo metu bendrovė dar nebuvo atsakiusi į šiuos klausimus.

Kokia tuo metu buvo CHMP rekomendacija?

Remdamasis peržiūrėtais duomenimis, paraiškos atsiėmimo metu CHMP turėjo abejonių ir buvo priėmęs negalutinę nuomonę, kad Tekinex rinkodaros teisė negali būti suteikta.

CHMP laikėsi nuomonės, kad šio vaisto teikiama nauda abejotina. Be to, po gydymo pacientai buvo stebimi nepakankamai ilgą laiką ir komitetas suabejojo vaisto saugumu, jeigu jį vartotų patys pacientai (taip, kaip numatė bendrovė). Taip pat CHMP rūpestį sukėlė tyrimo metu vartotos vaisto dozės ir kriterijai, kuriais remiantis buvo matuojamas jo veiksmingumas. Galiausiai, atlikęs tyrimo centrų patikrinimą, komitetas atkreipė dėmesį į paraiškoje pastebėtus tam tikrus prieštaravimus, kurie galėjo pakenkti tyrimo rezultatų patikimumui.

Taigi, paraiškos atsiėmimo metu CHMP laikėsi nuomonės, kad Tekinex teikiama nauda nėra didesnė už jo keliamą riziką.

Kokias paraiškos atsiėmimo priežastis nurodė bendrovė?

Bendrovės laišką agentūrai dėl paraiškos atsiėmimo galima rasti skiltyje *All documents* (Visi dokumentai).

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

Bendrovė informavo CHMP, kad Tekinex klinikiniai tyrimai bus tęsiami.

Retųjų vaistų komiteto nuomonės dėl Tekinex santrauką galima rasti agentūros interneto svetainėje ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designations.