



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2010 m. kovo 18 d.
EMA/265139/2010
EMA/H/C/1115

Klausimai ir atsakymai

Tyvaso (treprostinilio natrio druska) rinkodaros teisės paraiškos atsiėmimas

2010 m. vasario 17 d. bendrovė „United Therapeutics Europe Ltd“ oficialiai pranešė Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komitetui (CHMP) apie savo pageidavimą atsiimti paraišką suteikti Tyvaso, kurį numatyta skirti kaip papildomą gydomąją priemonę plaučių arterijos hipertenzija sergantiems pacientams, rinkodaros teisę.

Kas yra Tyvaso?

Tyvaso yra vaistas, kurio sudėtyje yra veikliosios medžiagos treprostinilio natrio druskos. Jį buvo numatyta tiekti kaip purškiamąjį tirpalą.

Kokiais atvejais buvo numatyta vartoti Tyvaso?

Vaistu Tyvaso buvo numatyta gydyti plaučių arterijos hipertenzija (PAH) sergančius pacientus, siekiant stiprinti jų fizinį pajėgumą (didinti fizinį aktyvumą). PAH yra neįprastai aukštas kraujo spaudimas plaučių arterijose.

Tyvaso buvo numatyta gydyti III funkcinę klasę pagal Niujorko širdies asociacijos klasifikaciją priskiriama PAH sergantiems pacientams, kurie taip pat gydomi endotelino receptorių antagonistu arba fosfodiesterazės-5 inhibitoriumi (kitais vaistais nuo PAH). Funkcinė klasė rodo PAH sunkumą: sergant III klasei priskiriama liga, stipriai apribojamas paciento fizinis aktyvumas. Tyvaso buvo numatyta skirti inhaliacijomis, kad pacientas įkvėptų vaistą tiesiai į plaučius.

Tyvaso buvo priskirtas retųjų vaistinių preparatų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistinių preparatų kategorijai 2004 m. balandžio 14 d.

Kokio tikimasi Tyvaso veikimo?

PAH yra sekinanti liga, kuria sergant smarkiai susiaurėja paciento plaučių kraujagyslės. Ji sukelia aukštą kraujo spaudimą kraujagyslėse, kuriomis kraujas patenka iš širdies į plaučius. Dėl šio spaudimo sumažėja į kraują patenkančio deguonies kiekis, todėl pasidaro sunkiau judėti.



Veiklioji Tyvaso medžiaga treprostinilio natrio druska yra natūralios molekulės prostaciklino, dėl kurio kraujagyslės išsiplečia, analogas. Įkvėpus treprostinilio natrio druskos, plaučių kraujagyslės turėtų išsiplesti, o tai galėtų sumažinti neįprastai aukštą kraujo spaudimą plaučių arterijose.

Kokius duomenis bendrovė pateikė kartu su paraiška?

Kadangi vaistais, kuriuose yra treprostinilio, Europoje prekiaujama nuo 2005 m., kai kuriuos iš šių vaisto vartojimo duomenų bendrovė naudoja paraiškai dėl Tyvaso pagrįsti. Bendrovė pateikė vieno pagrindinio tyrimo, kuriame dalyvavo 235 PAH sergantys pacientai, taip pat vartojantys endotelino receptorių antagonistą arba fosfodiesterazės-5 inhibitorių, rezultatus. Be vartojamų vaistų, pacientams papildomai buvo skiriamas Tyvaso arba placebo (preparatas be veikliosios medžiagos). Pagrindinis veiksmingumo rodiklis buvo atstumo, kurį pacientai galėjo nueiti per šešias minutes, pokytis po 12 gydymo savačių.

Kuriuo paraiškos nagrinėjimo etapu paraiška atsiimta?

Paraiška atsiimta 181-ą dieną. Tai reiškia, kad CHMP įvertino bendrovės pateiktus dokumentus ir parengė klausimų sąrašą. CHMP įvertinus bendrovės atsakymus į paskutinį kartą pateiktus klausimus, vis dar liko neišspręstų klausimų.

Kokia tuo metu buvo CHMP rekomendacija?

Remdamasis peržiūrėtais duomenimis ir bendrovės atsakymais į CHMP sąrašo klausimus paraiškos atsiėmimo metu, CHMP dar turėjo abejonių. Didžiausią rūpestį kėlė tai, kad atlikus patikrinimą dviejose vietose, kuriose buvo atliekamas vienintelis pagrindinis tyrimas, nustatyta, kad tyrimas buvo atliktas nesilaikant geros klinikinės praktikos reikalavimų. Todėl nuspręsta, kad tyrimo rezultatai nepatikimi, ir CHMP padarė išvadą, kad remiantis bendrovės pateiktais duomenimis, vaisto rinkodaros teisės suteikti negalima.

Kokias paraiškos atsiėmimo priežastis nurodė bendrovė?

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

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

Bendrovė informavo CHMP, kad paraiškos atsiėmimo metu Europoje buvo atliekamas vienas klinikinis tyrimas ir kad Tyvaso taip pat buvo tiekiamas pacientams pagal labdaringo vartojimo programą viename specialiaame centre Vokietijoje. Šių pacientų gydymas bus tęsiamas, kol atsiras kitų gydymo priemonių.

Retųjų vaistų komiteto nuomonės dėl vaisto Tyvaso santrauką galima rasti [čia](#).