



Londonas, kovo 19 d., 2008
Dok. Nr. EMEA/304839/2008

KLAUSIMAI IR ATSAKYMAI DĖL REKOMENDACIJOS NESUTEIKTI PREPARATO RHUCIN RINKODAROS TEISĖS

Bendrinis pavadinimas: **rekombinantinis žmogaus C1 inhibitorius**

2007 m. gruodžio 13 d. Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komitetas (CHMP) priėmė neigiamą nuomonę ir rekomendavo nesuteikti rinkodaros teisės ūmiais angioedemos priepuoliais sergantiems pacientams, turintiems įgimtą C1 inhibitoriaus aktyvumo deficitą, gydyti skirtam vaistiniam preparatui Rhucin 150 U/ml (milteliai injekciniam tirpalui ruošti). Paraišką dėl rinkodaros teisės suteikimo pateikė bendrovė „Pharming Group N.V.“.

Pareiškėja pateikė prašymą persvarstyti sprendimą. Išnagrinėjęs šio prašymo pagrindą, CHMP pakartotinai apsvairstė pirminį sprendimą ir 2008 m. kovo 19 d. patvirtino savo rekomendaciją nesuteikti rinkodaros teisės.

Kas yra Rhucin?

Rhucin yra milteliai, skirti tirpalui injekcijoms į veną gaminti. Jos veiklioji medžiaga yra rekombinantinis žmogaus C1 inhibitorius.

Kokiais atvejais buvo numatyta vartoti Rhucin?

Buvo numatyta Rhucin vartoti ūmiems angioedemos priepuoliams (kraujagyslių patinimams) gydyti. Buvo numatyta gydyti pacientus, kurie turi nedidelį baltymo, vadinamo C1 inhibitoriumi, kiekį dėl įgimto trūkumo.

Rhucin buvo priskirtas retųjų vaistų grupei 2001 m. gegužės 11 d. C1 inhibitoriaus deficito sukeltai angioedemai gydyti.

Kokio tikimasi Rhucin veikimo?

Veiklioji Rhucin medžiaga, rekombinantinis C1 inhibitorius, yra labai panaši į natūralų kraujo baltymą C1 inhibitorių. Paprastai C1 inhibitorius aptinkamas kraujyje, kur jis slopina komplemento sistemos, imuninės sistemos (natūralios organizmo apsaugos) dalies, aktyvumą. Pacientus, kurie turi per mažai aktyvios C1 inhibitoriaus formos, vargina uždegimo ir patinimų įvairiose kūno vietose priepuoliai. Buvo numatyta, kad Rhucin bus naudojamas pakeisti trūkstamam C1 inhibitoriui, kompensuoti deficitui ir mažinti uždegimui ir patinimui, kurie sukelia angioedemą.

Veiklioji Rhucin medžiaga gaminama pagal rekombinantinės DNR technologiją: ji išskiriama iš triušių, kuriems buvo įsodintas genas (DNR), įgalinantis gaminti žmogaus baltymą, pieno.

Kokius dokumentus bendrovė pateikė CHMP kartu su paraiška?

Pirmiausia preparato Rhucin poveikis buvo išbandytas su eksperimentiniais modeliais ir tik tada buvo tiriamas jo poveikis žmonėms.

Rhucin buvo tiriamas dviejuose pagrindiniuose tyrimuose, iš viso dalyvavo 48 suaugusieji, turintys C1 inhibitoriaus deficitą. Abiejuose tyrimuose pacientams buvo skiriama Rhucin, jei jie buvo patyrę angioedemos priepuolį. Iš viso 12 pacientų buvo gydyta 17 priepuolių, bet abu tyrimai dar tebevyko, kai buvo atliekamas pradinis vaisto vertinimas. Pagrindinis veiksmingumo kriterijus buvo laikas, per kurį pacientui simptomų sumažėjo. Per vertinimo procedūrą bendrovė taip pat pateikė pradinius tyrimo, kuriame buvo lyginamas Rhucin veiksmingumas su placebo (gydomojo poveikio neturinčiu preparatu), rezultatus. Buvo vertinami 25 pacientų gydymo rezultatai.

CHMP taip pat atsižvelgė į saugumo duomenis, gautus iš tyrimų su sveikais savanoriais ir su pacientais, kuriems nebuvo simptomų ir kurie buvo gydyti preparatu Rhucin.

Kokios buvo pagrindinės CHMP abejonės, dėl kurių jis rekomendavo nesuteikti rinkodaros teisės?

2007 m. gruodžio mėn. CHMP kėlė rūpestį, kad nėra pakankamai įrodymų, rodančių Rhucin naudą ir riziką. Atlikti tyrimai per maži, kad įrodytų, kiek veiksmingas yra Rhucin gydant sunkesnes ligos formas, pvz., gerklų patinimą, ar koks saugus ir veiksmingas yra vaistas, jei skiriamas pacientui daugiau nei vieną kartą. Taip pat nepakanka informacijos apie antikūnų gamybos tikimybę po kartotinių Rhucin dozių. Komitetui taip pat kėlė rūpestį galimos Rhucin priemonės iš triušio pieno, iš kurio išskiriama veiklioji medžiaga. Tikėtina, kad jos gali turėti įtakos vaisto saugumui. Bendrovė neįrodė, kad galima patikimai išmatuoti priemonių kiekį ar antikūnus. Be to, nerimauta, kad nebuvo pakankamai įvertinta Rhucin dozė.

2008 m. kovo mėn. po pakartotinio tyrimo CHMP atsiėmė kai kuriuos savo klausimus, tačiau išliko susirūpinimas dėl antikūnų gamybos tikimybės, kai Rhucin skiriamas daugiau nei kartą, įskaitant jo poveikį saugumui ir veiksmingumui. Susirūpinimą kėlė ir sunkių alerginių reakcijų rizika pacientams, kuriems skiriamas Rhucin.

Todėl CHMP laikėsi nuomonės, kad ūmiems angioedemos priepuoliams gydyti preparato Rhucin teikiama nauda nėra didesnė už jo keliamą riziką. Taigi CHMP rekomendavo nesuteikti preparato Rhucin rinkodaros teisės.

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

Bendrovė pranešė CHMP, kad paraiškos atsiėmimas neturės jokių pasekmių pacientams, šiuo metu dalyvaujantiems klinikiniuose tyrimuose arba preparato Rhucin labdaringo vartojimo programose. Jei dalyvaujate klinikiniuose tyrimuose arba preparato labdaringo vartojimo programoje ir pageidaujate gauti išsamesnės informacijos apie savo gydymą, kreipkitės į Jus gydantį gydytoją.