



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2012 m. lapkričio 15 d.
EMA/725439/2012
EMA/H/C/preparato numeris

Klausimai ir atsakymai

Atsisakymas suteikti Istodax (romidepsino) rinkodaros leidimą

Pakartotinio priimtos nuomonės nagrinėjimo rezultatai

2012 m. liepos 19 d. Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komitetas (CHMP) priėmė neigiamą nuomonę, kuria rekomendavo nesuteikti periferinei T ląstelių limfomai gydyti skirto vaistinio preparato Istodax rinkodaros leidimo. Paraišką gauti rinkodaros leidimą pateikė bendrovė „Celgene Europe Ltd“.

Pareiškėjas paprašė pakartotinai išnagrinėti priimtą nuomonę. Apsvarstęs šio prašymo priežastis, CHMP pakartotinai išnagrinėjo pirminę nuomonę ir 2012 m. lapkričio 15 d. patvirtino rekomendaciją nesuteikti rinkodaros leidimo.

Kas yra Istodax?

Istodax – tai vaistas, kurio sudėtyje yra veikliosios medžiagos romidepsino. Jį buvo numatyta tiekti miltelių ir tirpiklio, iš kurių ruošiamas infuzinis (į veną lašinamas) tirpalas, forma.

Kokiais atvejais buvo numatyta vartoti Istodax?

Istodax buvo numatyta gydyti suaugusiuosius, sergančius periferine T ląstelių limfoma, kuri tapo atspari gydymui arba atsinaujino po ne mažiau kaip dviejų ankstesnių gydymo kursų. Periferinė T ląstelių limfoma – tai tam tikrų baltųjų kraujo kūnelių, vadinamų T ląstelėmis, kurios yra imuninės sistemos dalis, vėžys.

2005 m. spalio 28 d. Istodax buvo priskirtas prie retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) periferinei T ląstelių limfomai (nodalinei, ekstranodalinei ir leukeminei/difuzinei) gydyti.

Kokio tikimasi Istodax veikimo?

Veiklioji Istodax medžiaga romidepsinas turėtų slopinti vadinamąsias histonų deacetilazes – baltymus, kurie dalyvauja „įjungiant“ ir „išjungiant“ ląstelėse esančius genus. Kaip veikia romidepsinas gydant



periferinę T ląstelių limfomą, tiksliai nežinoma, tačiau manoma, kad dėl jo poveikio genams, kurie kontroliuoja ląstelių proliferaciją ir žūtį, turėtų sulėtėti vėžio ląstelių augimas ir dalijimasis.

Kokius dokumentus bendrovė pateikė kartu su paraiška?

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

Bendrovė pateikė vieno pagrindinio Istodax tyrimo, kuriame dalyvavo 131 periferine T ląstelių limfoma sergantis pacientas, kuriems jau taikytas gydymas nuo šios ligos, rezultatus. Atliekant šį tyrimą, Istodax nebuvo lyginamas su kitomis gydymo priemonėmis. Pagrindinis veiksmingumo rodiklis buvo pagrįstas pacientų, kuriems pasireiškė visiškasis atsakas į gydymą, dalimi.

Kokios buvo pagrindinės CHMP abejonės, dėl kurių atsisakyta suteikti rinkodaros leidimą?

2012 m. liepos mėn. CHMP atkreipė dėmesį, kad pagrindinis tyrimas patvirtino, jog vertinant pagal pacientų atsaką į gydymą, Istodax veikia navikus. Tačiau, atsižvelgdamas į tai, kad Istodax nebuvo lyginimas su kitomis gydymo priemonėmis, komitetas negalėjo padaryti išvadų dėl šio vaisto klinikinės naudos bendro išgyvenamumo (pacientų gyvenimo trukmės) ar išgyvenamumo ligai neprogresavus (pacientų gyvenimo neblogėjant su liga susijusiai būklei trukmės) požiūriu. CHMP taip pat atkreipė dėmesį, kad per neapsižiūrėjimą bendrovė nepateikė atitinkamo tyrimo centro, kuriame šis vaistas gaminamas, geros gamybos praktikos pažymėjimo, kuris yra teisiškai privalomas.

2012 m. lapkričio mėn. pakartotinai išnagrinėjus priimtą nuomonę CHMP nebeliko abejonių dėl geros gamybos praktikos pažymėjimo, tačiau kiti rūpestį kėlę klausimai nebuvo išspręsti. Visų pirma komitetas negalėjo padaryti išvadų dėl Istodax klinikinės naudos. Kadangi šis vaistas nebuvo lyginamas su kitomis gydymo priemonėmis, nebuvo galima nustatyti, ar pacientams pasireiškusių poveikį lėmė vaistas ar pagrindiniame tyrime dalyvavusių pacientų ligos ypatumai. Todėl nebuvo galima padaryti išvados, kad šio vaisto nauda didesnė už jo keliamą riziką, ir CHMP patvirtino savo pirminę nuomonę.

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

Bendrovė pranešė CHMP, kad paraiškos atsiėmimas neturės jokių pasekmių pacientams, šiuo metu dalyvaujantiems klinikinuose tyrimuose arba preparato Istodax labdaringo vartojimo programose.

Jei dalyvaujate klinikinuose tyrimuose arba preparato labdaringo vartojimo programoje ir pageidaujate gauti išsamesnės informacijos apie savo gydymą, kreipkitės į Jus gydantį gydytoją.

Retųjų vaistinių preparatų komiteto nuomonės apie Istodax santrauką rasite agentūros interneto svetainėje adresu [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).