



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

13 ta' Novembru 2020
EMA/594092/2020
EMA/H/C/005123

L-irtirar tal-applikazzjoni għall-awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq ta' Puldysa (idebenon)

Santhera Pharmaceuticals (Deutschland) GmbH irtirat l-applikazzjoni tagħha għal awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq ta' Puldysa għall-kura ta' distrofija muskolari ta' Duchenne.

Il-kumpanija rtirat l-applikazzjoni fit-28 ta' Ottubru 2020.

X'inhu Puldysa u għalxiex kien mistenni li jintuża?

Puldysa gie żviluppat bħala mediċina biex jikkura aggravar tat-teħid tan-nifs f'pazjenti b'distrofija muskolari ta' Duchenne li mhumiex qegħdin jirċievu kortikosteroidi.

Il-mediċina fiha s-sustanza attiva idebenon u kellha tkun disponibbli bħala pilloli miksijin b'rita li għandhom jittieħdu mill-ħalq.

Gie żviluppat bħala "mediċina ibrida". Dan ifisser li kien intiż li jkun simili għal "mediċina ta' referenza" li jkun fiha l-istess sustanza attiva u li diġà hija awtorizzata fl-Unjoni Ewropea. Il-mediċina ta' referenza hija Mnesis, li hi awtorizzata fl-Italja għall-kura tal-glaukoma.

Puldysa kien ikklassifikat bħala "mediċina orfni" (mediċina li tintuża f'mard rari) fl-20 ta' Marzu 2007 għad-distrofija muskolari ta' Duchenne. Aktar tagħrif dwar il-klassifikazzjoni orfni jista' jinstab [hawnhekk](#).

Kif jaħdem Puldysa?

Is-sustanza attiva f'Puldysa, l-idebenon, hija aġent antiossidant li taġixxi fuq il-mitokondriji (l-istrutturi fiċ-ċelloli li jipproduċu l-enerġija neċessarja sabiex ikunu jistgħu jiffunzjonaw iċ-ċelloli). F'pazjenti b'distrofija muskolari ta' Duchenne, il-mitokondriji ma jaħdmux kif suppost u jiffurmaw forom tossiċi tal-ossigenu li jagħmlu ħsara liċ-ċelloli tal-muskoli. L-idebenon hija maħsuba li tgħin biex ittejjeb il-produzzjoni ta' enerġija billi tirrestawra l-funzjoni mitokondrijali, b'hekk tipprevjeni ħsara ċellulari u t-telf tal-funzjoni muskolari inkluż dak tal-muskoli tan-nifs.

L-idebenon hija awtorizzata wkoll fl-UE għall-kura ta' defiċjenza konjittiva u tal-imġiba, l-atassija ta' Friedrich u n-newropatija ottika ereditarja ta' Leber.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



X'dokumentazzjoni pprezentat il-kumpanija biex tappoġġa l-applikazzjoni tagħha?

Il-kumpanija pprovdiet riżultati minn tliet studji ewlenin li involvew pazjenti b'distrofija muskolari ta' Duchenne li ma kinux qed jiġu kkurati bil-kortikosteroidi. F'żewġ studji, Puldysa tqabbel ma' placebo (kura finta) u l-effikaċja tkejjlet permezz tat-titjib fil-funzjoni tal-pulmun jew il-bidla fil-PEF (l-ogħla livell ta' nifs 'il barra, indikatur tal-funzjoni tan-nifs) wara sena ta' kura. Fit-tielet studju l-pazjenti kkurati b'Puldysa ġew segwiti aktar biex jiġi osservat jekk l-effetti fuq in-nifs kinux jinżammu.

Sa fejn kienet waslet l-evalwazzjoni tal-applikazzjoni qabel ma din ġiet irtirata?

L-applikazzjoni ġiet irtirata wara li l-Aġenzija Ewropea għall-Mediċini kienet evalwat l-informazzjoni mill-kumpanija u hejjiet mistoqsijiet għall-kumpanija. Wara li l-Aġenzija kienet ivvalutat it-tweġibiet tal-kumpanija għall-aħħar lista ta' mistoqsijiet, kien għad hemm xi kwistjonijiet mhux riżolti.

X'kienet ir-rakkomandazzjoni tal-Aġenzija dak iż-żmien?

Fuq il-bażi tar-reviżjoni tad-*data* u t-tweġiba tal-kumpanija għall-mistoqsijiet tal-Aġenzija, fiż-żmien tal-irtirar, l-Aġenzija xorta kellha xi tħassib u l-opinjoni provviżorja tagħha kienet li Puldysa ma setax jiġi awtorizzat għall-kura ta' aggravar tal-funzjoni tan-nifs f'pazjenti b'distrofija muskolari ta' Duchenne li mhumx qegħdin jużaw kortikosteroidi.

L-Aġenzija kkunsidrat li l-effetti benefiċċjali fuq il-funzjoni tal-pulmun ma kinux konsistenti fl-istudji kollha u ma kienx ċar jekk dawn setgħux jinżammu fit-tul.

Għalhekk, fiż-żmien tal-irtirar, l-opinjoni tal-Aġenzija kienet li l-benefiċċji ta' Puldysa ma kinux jегħlbu r-riskji tiegħu.

X'kienu r-raġunijiet mogħtija mill-kumpanija għall-irtirar tal-applikazzjoni?

Fl-[ittra](#) tagħha li bagħtet lill-Aġenzija biex tgħarrafha bl-irtirar tal-applikazzjoni, il-kumpanija sostniet li qiegħda tirtira l-applikazzjoni tagħha wara studju ewlieni kontinwu li kien mistenni jipprovdri aktar evidenza għal Puldysa fid-distrofija muskolari ta' Duchenne minħabba li ma setgħetx tikseb l-għanijiet tagħha.

Dan l-irtirar jaffettwa pazjenti fi provi kliniċi jew fi programmi ta' użu b'kompjassjoni?

Il-kumpanija infurmat lill-Aġenzija li l-provi kliniċi u l-programmi ta' użu b'kompjassjoni kollha għal Puldysa fid-distrofija muskolari ta' Duchenne qegħdin jitwaqqfu. It-tobba tal-prova klinika se jikkuntattjaw lill-pazjenti sabiex jorganizzaw żjarat ta' segwitu finali.

Jekk inti qed tiegħu sehem fi prova klinika jew fi programm ta' użu b'kompjassjoni u teħtieġ aktar informazzjoni dwar il-kura tiegħek, ikkuntattja lit-tabib li jkun qed jagħtik il-kura.