



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

29 ta' Mejju 2019
EMA/293450/2019
EMA/H/C/004938

L-irtirar tal-applikazzjoni għall-awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq għal Radicava (edaravon)

Fl-24 ta' Mejju 2019, Mitsubishi Tanabe Pharma GmbH għarrfet uffiċjalment lill-Kumitat għall-Prodotti Mediċinali għall-Użu mill-Bniedem (CHMP) bi-intenzjoni li tirtira l-applikazzjoni tagħha għall-awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq għal Radicava, maħsub għall-kura ta' sklerozi laterali amijotrofika (ALS).

X'inhu Radicava?

Radicava huwa medicina li fiha s-sustanza attiva edaravon. Dan kellu jiġi bħala soluzzjoni għall-infużjoni (dripp) ġo vina.

Għal xiex kien mistenni li jintuża Radicava?

Radicava kien mistenni li jintuża biex jikkura pazjenti bi sklerosi laterali amijotrofika (ALS). L-ALS hija marda tas-sistema nervuża, fejn iċ-ċelluli tan-nervituri fil-moħħ u fil-korda spinali li jikkontrollaw il-moviment volontarju jiddeterjoraw gradwalment, u jikkawżaw telfien tal-funzjoni tal-muskoli u paralizi.

Radicava kien mistenni jintuża biex idewmu l-iggravar tal-marda fil-pazjenti li għadhom jistgħu jwettqu attivitajiet normali ta' kuljum.

Radicava kien ikklassifikat bħala 'medicina orfni' (medicina li tintuża f'mard rari) fid-19 ta' Ġunju 2015 għall-ALS. Aktar informazzjoni dwar il-klassifikazzjoni orfni tista' tinstab [hawnhekk](#).

Kif jaħdem Radicava?

Il-mod eżatt kif Radicava jaħdem fil-pazjenti bi-ALS mhux magħruf iżda huwa maħsub li jinnewtralizza l-molekuli li fihom l-ossigenu magħrufa bħala 'radikali liberi', li huma marbuta ma' ħsara fin-nervituri f'pazjenti bi-ALS.

X'ipprezentat il-kumpanija biex tappoġġa l-applikazzjoni tagħha?

Il-kumpanija pprezentat riżultati minn studju ewlieni ta' 137 pazjent bi-ALS li ngħataw Radicava jew placebo (kura finta). L-istudju ħares lejn kemm inbidlu s-sintomi tal-pazjenti matul 24 ġimgħa, bi-użu ta' skala ta' klassifikazzjoni standard magħrufa bħala 'skala ta' klassifikazzjoni funzjonali riveduta tal-

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



ALS' (ALS functional rating scale revised - ALSFRS-R) It-tobba jużaw din l-iskala biex jikklassifikaw kemm il-pazjenti jistgħu jirkellmu, jieħdu n-nifs, jieklu u jwettqu attivitajiet normali oħra b'mod tajjeb.

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

L-applikazzjoni ġiet irtirata wara li s-CHMP kien evalwa d-dokumentazzjoni pprovduta mill-kumpanija u fformula listi ta' mistoqsijiet. Wara li s-CHMP kien ivvaluta t-tweġibiet tal-kumpanija għall-aħħar sensiela ta' mistoqsijiet, kien għad hemm xi kwistjonijiet mhux riżolti.

X'kienet ir-rakkomandazzjoni tas-CHMP dak iż-żmien?

Fiż-żmien tal-irtirar, is-CHMP kellu xi tħassib u kien tal-opinjoni provvizorja li Radicava ma setax jiġi approvat.

Il-Kumitat innota li l-istudju ewlieni ma weriex titjib sinifikanti fil-punteġġi ALSFRS-R f'pazjenti li ngħataw Radicava meta mqabbla ma' dawk li ngħataw placebo. Madankollu, l-istudju involva biss għadd żgħir ta' pazjenti u ma kienx hemm biżżejjed evidenza ta' titjib f'miżuri importanti oħra, bħal dawk relatati mas-sopravivenza, it-teħid tan-nifs u s-saħħa tal-muskoli.

Barra minn hekk, is-CHMP innota differenzi importanti bejn iż-żewġ gruppi li setgħu influwenzaw ir-riżultati finali - bħall-fatt li għadd oġhla ta' pazjenti fil-grupp ta' Radicava kellhom mard inqas sever. Meta l-pazjenti fil-grupp tal-placebo bdew jingħataw Radicava, ma kien hemm l-ebda effett evidenti.

Is-CHMP kien imħasseb ukoll dwar kemm dam kwalunkwe benefiċċju minn Radicava, u nnota li 24 ġimgħa (punt ta' qtugħ fl-istudju ewlieni) kien żmien qasir wisq u li d-data mill-faži ta' estensjoni tal-istudju kienet diffiċli biex tiġi interpretata.

Minħabba l-ħtieġa ċara għal aktar evidenza tal-effikaċja ta' Radicava, il-Kumitat ikkunsidra l-possibbiltà ta' approvazzjoni kondizzjonali, li kienet tippermetti lill-kumpanija tipprovdi aktar data fi stadju aktar tard. Il-kumpanija proponiet studju ta' registru fejn il-pazjenti kkurati b'Radicava setgħu jitqabblu ma' pazjenti li ngħataw kuri oħra għall-ALS fil-passat. Il-Kumitat ikkunsidra l-merti ta' tali studju iżda kellu xi oġġezzjonijiet, inkluż il-fatt li l-kura għall-ALS kienet inbidlet b'mod sinifikanti f'dawn l-aħħar snin, u b'hekk kien diffiċli li jsir tqabbil.

Matul l-evalwazzjoni, is-CHMP ikkonsulta grupp ta' esperti fil-qasam biex jikseb l-opinjonijiet tagħhom dwar ir-riżultati tal-istudju, ir-registru propost u l-popolazzjoni tal-pazjenti li setgħet potenzjalment tibbenefika mill-kura b'Radicava. Fiż-żmien tal-irtirar, il-Kumitat kien tal-opinjoni li, minħabba n-nuqqas ta' effikaċja mixhuda, il-benefiċċji ta' Radicava ma kinux jегħlbu r-riskji tiegħu.

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

Fl-ittra li baġtet lill-Aġenzija biex tgħarrarfha bl-irtirar tal-applikazzjoni, il-kumpanija sostniet li l-irtirar kien ibbażat fuq opinjoni provvizorja tal-Kumitat dwar id-data tal-istudju. L-ittra tal-irtirar tista' tinstab [hawnhekk](#).

X'inhuma l-konsegwenzi ta' dan l-irtirar għall-pazjenti fi provi kliniċi jew fi programmi ta' użu b'kompessjoni?

Il-kumpanija infurmat lis-CHMP li l-irtirar mhu se jkollu l-ebda impatt fuq il-provi kliniċi li għaddejjin. Il-kumpanija se tkompli għaddejja bil-programmi ta' użu b'kompessjoni soġġett għad-diskussjonijiet mal-awtoritajiet nazzjonali li diġà taw l-approvazzjoni għall-użu b'kompessjoni.