



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

20 ta' Jannar 2011
EMA/13310/2011
EMA/H/C/001244

Mistoqsijiet u twegibiet

L-irtirar tal-applikazzjoni għall-awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq għal Tekinex (omacetaxine mepesuccinate)

Fil-11 ta' Jannar 2011, ChemGenex Europe SAS 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 Tekinex maħsub sabiex jintuża fil-kura ta' pazjenti b'lewkimja majelojda kronika pożittiva għall-kromosoma ta' Philadelphia li għandhom il-mutazzjoni tad-'domain tal-kinase Bcr-Abl T315I' u li l-kura li ħadu fil-passat b'imatinib ma kinitx ta' suċċess.

X'inhu Tekinex?

Tekinex huwa mediċina li fiha s-sustanza attiva omacetaxine mepesuccinate. Kien se jkun disponibbli bħala trab magħmul għal soluzzjoni għal injezzjoni.

Għalxiex kien mistenni li jintuża Tekinex?

Tekinex kien mistenni li jintuża fil-kura ta' adulti b'lewkimja majelojda kronika 'pożittiva għall-kromosoma ta' Philadelphia' (Ph+) (CML, kanċer ta' tip ta' ċelloli bojod tad-demm li jissejġu granulociti). Ph+ ifisser li xi wħud mill-ġeni tal-pazjent ikunu rrangaw ruħhom b'tali mod li jiffurmaw kromożoma speċjali li tissegja kromożoma ta' Philadelphia li tipproduci enzima, Bcr-Abl kinase li twassal għall-iżvilupp tal-lewkimja.

Kien se jintuża f'pazjenti li l-kura preċedenti tagħhom b'imatinib (mediċina oħra kontra l-kanċer) ma kinitx ta' suċċess, probabbli minħabba mutazzjoni fil-ġene tal-Bcr-Abl kinase imsejjaħ 'il-mutazzjoni T315I'.



Minhabba li n-numru ta' pazjenti bis-CML huwa wiehed baxx, il-marda hija kkunsidrata bħala waħda 'rari', u fit-2 ta' Settembru 2004, Tekinex kien ikklassifikat bħala 'medicina orfni' (medicina li tintuża f'mard rari).

Kif huwa mistenni li jaħdem Tekinex?

Is-sustanza attiva f'Tekinex, omacetaxine, hija inibitur tas-sintesi tal-proteini. Din ġejja minn harringtonine, sustanza estratta minn evergreen Ċiniża. Il-mod ta' kif taħdem mhuwiex ċar, iżda huwa maħsub li tfixkel il-produzzjoni tal-enzima tyrosine kinase Bcr-Abl.

Mediċini oħra magħrufa bħala inibituri ta' tyrosine kinase, li jinkludu imatinib, jaġixxu fis-CML billi jeħlu direttament mal-enzima tyrosine kinase Bcr-Abl. Il-mutazzjoni T315I tbiddel xi wħud mill-karatteristiċi tal-enzima, u tagħmilha iktar diffiċli għall-mediċini biex jeħlu magħha. Minhabba li omacetaxine ma jaġġixx b'dan il-mod, l-azzjoni tiegħu ma tiġix affettwata bil-mutazzjoni T315I. Għaldaqstant, Tekinex kien mistenni li jaħdem f'pazjenti Ph+ li għandhom il-mutazzjoni T315I.

Xi pprezentat il-kumpanija biex tappoġġa l-applikazzjoni tagħha?

L-effetti ta' Tekinex għall-ewwel ġew ittestjati f'mudelli sperimentali qabel ma ġew studjati fuq il-bniedem. Il-kumpanija pprezentat riżultati minn studju prinċipali li fih ħadu sehem 66 pazjent b'CML pożittiva għall-Philadelphia u għal-mutazzjoni T315I, li l-kura li kienu ħadu qabel b'imatinib ma kinitx ta' suċċess. Tekinex ma tqabbilx direttament ma' kura oħra. L-istudju ħares lejn il-mod ta' kif il-pazjenti wiegħbu għall-kura fuq il-bażi tar-riżultati tat-testijiet tad-demm li ttieħdu biex jitkejjel kemm il-kanċer kien attiv.

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

L-applikazzjoni kienet waslet f'jum 120' meta ġiet irtirata. Dan ifisser li s-CHMP kien evalwa d-dokumentazzjoni inizjali pprovduta mill-kumpanija u fassal lista ta' mistoqsijiet. Il-kumpanija kienet għadha ma wegħbitx għall-mistoqsijiet fiż-żmien tal-irtirar.

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

Skont l-analiżi tad-dejta, fiż-żmien tal-irtirar, is-CHMP wera xi tħassib u kien tal-opinjoni provviżorja li Tekinex ma setax ikun approvat.

Is-CHMP kien tal-opinjoni li l-benefiċċji tal-mediċina kienu inċerti. Ma kienx hemm 'follow-up' suffiċjenti tal-pazjenti li kienu qed jieħdu l-kura u l-Kumitat kien dubjuż jekk il-mediċina kinetx sigura biżżejjed biex tingħata mill-pazjent innifsu kif kienet l-intenzjoni tal-kumpanija. Is-CHMP wera wkoll tħassib dwar id-dożi użati fl-istudju u l-kriterji użati biex titkejjel l-effikaċja tal-mediċina. Fl-aħħar nett, wara li saret spezzjoni tas-siti li fihom sar l-istudju, il-Kumitat innota li kien hemm xi inkonsistenzi fl-applikazzjoni li setgħu affettwaw l-affidabbiltà tar-riżultati tal-istudju.

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

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

L-ittra mill-kumpanija li tgħarraf lill-Aġenzija bl-irtirar tal-applikazzjoni tinsab taħt it-tab 'Dokumenti kollha'.

X'inhuma l-konsegwenzi tal-irtirar għall-pazjenti li jkunu nvoluti fil-provi kliniċi jew programmi ta' użu b'kumpassjoni?

Il-kumpanija għarrfet lis-CHMP li l-provi kliniċi b'Tekinex kienu se jkomplu.

Is-sommarju tal-opinjoni tal-Kumitat għal Prodotti Medċinali Orfni għal Tekinex huwa disponibbli fis-sit tal-Aġenzija [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designations](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designations).