

18 ta' Marzu 2010
EMA/265141/2010
EMA/H/C/1115

Mistoqsijiet u tweġibiet

Irtirar tal-applikazzjoni għat-tqegħid fis-suq għal Tyvaso (treprostinil sodium)

Fis-17 ta' Frar 2010, United Therapeutics Europe Ltd. innotifikat uffiċjalment lill-Kumitat għal Prodotti Mediċinali għall-Użu mill-Bniedem (CHMP) li tixtieq tirtira l-applikazzjoni tagħha għal awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq għal Tyvaso, maħsuba biex tkun trattament 'miżjud' għal pazjenti bi pressjoni għolja arterjali pulmonari.

X'inhì Tyvaso?

Tyvaso hija medicina li fiha s-sustanza attiva treprostinil sodium. Din kellha tkun disponibbli wkoll f'soluzzjoni għal nebulizzatur.

Għalxiex kienet mistennija li tintuża Tyvaso?

Tyvaso kienet mistennija li tintuża għat-trattament ta' pazjenti bi pressjoni għolja arterjali pulmonari (PAH) biex ittejjeb il-kapaċità tal-eżerċizzju (l-abilità li titwettaq attività fiżika). PAH hija pressjoni għolja fid-demm fl-arterji tal-pulmuni.

Tyvaso kellha tintuża f'pazjenti b'PAH ikklassifikata bħala 'Klassi funzjonali III tan-New York Heart Association' li kienu qed jiġu trattati wkoll b'antagonista riċettur tal-endothelin' jew b'inibitur ta' phosphodiesterase-5' (medicini oħrajn għal PAH). Il-klassi tirrifletti s-serjetà tal-PAH: klassi III tinvolvi limitazzjoni evidenti ta' attività fiżika. Tyvaso kienet mistennija li tingħata permezz tal-inalazzjoni, bil-pazjent li jiehu l-medicina man-nifs direttament fil-pulmuni.

Tyvaso ġiet innominata biex tkun 'medicina orfni' (medicina li tintuża f'mard rari) fl-14 ta' April 2004 għall-pressjoni għolja arterjali pulmonari.

Kif inhì mistennija li taħdem Tyvaso?

PAH hija marda debilitanti fejn hemm tidjiq sever tal-vini tad-demmi tal-pulmuni. Din tikkawża pressjoni għolja fid-demmi fil-vini li jieħdu d-demmi mill-qalb għall-pulmuni. Din il-pressjoni tnaqqas l-ammont ta' ossiġnu li jista' jasal fid-demmi, u tagħmel l-attività fiżika aktar diffiċli.

Is-sustanza attiva f'Tyvaso, tereprostiniil sodium, hija analugu ta' prostacyclin, molekula li sseħħ b'mod naturali li tikkawża l-vini tad-demmi biex jespandu. Meta jittieħed man-nifs, tereprostiniil sodium mistenni li jikkawża l-espanzjoni tal-vini tad-demmi fil-pulmun, li jistgħu jtaffu l-pressjoni għolja b'mod anormali fid-demmi fl-arterji tal-pulmuni.

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

Minhabba li l-medicini li fihom tereprostiniil ilhom disponibbli fl-Ewropa mill-2005, il-kumpanija użat ftit minn din id-dejta biex issostni l-applikazzjoni tagħha għal Tyvaso. Il-kumpanija ipprezentat ir-riżultati ta' studju ewlieni wieħed li jinvolvi 235 pazjent b'PAH li kienu qed jirċievu wkoll jew antagonist riċettur tal-endothelin jew inibitur ta' phosphodiesterase-5. Il-pazjenti ngħataw Tyvaso jew placebo (medicina finta) bħala zieda mat-trattament eżistenti tagħhom. Il-kejl ewlieni tal-effikaċja kien il-bidla fid-distanza li l-pazjenti setgħu jimxu f'sitt minuti wara tnaqqas il-ġimgħa ta' trattament.

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

L-applikazzjoni ġiet irtirata wara 'l-jum 181'. Dan ifisser li s-CHMP iwwaluta d-dokumentazzjoni pprovduta mill-kumpanija u fformula lista ta' mistoqsijiet. Wara li s-CHMP kien evalwa r-risposti mill-kumpanija għall-aħħar sensiela ta' mistoqsijiet, kien għad hemm xi kwistjonijiet pendenti mhux riżolti.

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

Is-CHMP kellu tħassib ibbażat fuq ir-reviżjoni tad-dejta u t-tweġiba tal-kumpanija għall-lista ta' mistoqsijiet tas-CHMP fil-hin tal-irtirar. It-tħassib ewlieni kien li spezzjonijiet ta' żewġ siti fejn sar l-istudju waħdieni ewlieni urew li l-istudju ma sarx f'konformità ma' 'prattika klinika tajba' (GCP). Bħala konsegwenza, ir-riżultati tal-istudju ma ġewx ikkunsidrati bħala affidabbli u s-CHMP ikkonkluda li l-medicina ma setgħetx tiġi approvata skont id-dejta ipprezentata mill-kumpanija.

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

L-ittra mill-kumpanija li tgħarraf lill-Aġenzija bl-irtirar tal-applikazzjoni tinsab [hawnhekk](#).

X'konsegwenzi għandu dan l-irtirar għal pazjenti fi programmi kliniċi jew fi programmi għall-użu ta' kompassjoni?

Il-kumpanija informat lis-CHMP li fil-hin tal-irtirar kien hemm studju kliniku wieħed li kien għadu għaddej u li Tyvaso kienet qiegħda tiġi fornuta wkoll fuq bażi ta' użu ta' kompassjoni f'centru speċjalizzat wieħed fil-Ġermanja. It-trattament ta' dawn il-pazjenti sejjer ikompli sakemm jinkisbu trattamenti alternattivi.

Is-sommarju tal-opinjoni tal-Kumitat għall-Prodotti Mediciċinali Orfni għal Tyvaso huwa disponibbli minn [hawn](#).