

21 ta' Settembru 2018  
EMA/621972/2018  
EMA/H/C/004355

## Rifjut tal-awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq ta' Exondys (eteplirsens)

### Riżultat tal-eżaminazzjoni- mill-ġdid

Fil-31 ta' Mejju 2018, il-Kumitat għall-Prodotti Mediċinali għall-Użu mill-Bniedem (CHMP) adotta opinjoni negattiva, li fiha rrakkomanda r-rifjut tal-awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq għall-prodott mediċinali Exondys, maħsub għall-kura tad-distrofija muskulari Duchenne. Il-kumpanija li applikat għall-awtorizzazzjoni, AVI Biopharma International Ltd, talbet li terġa' tiġi eżaminata l-opinjoni tal-CHMP fl-1 ta' Ġunju 2018.

Wara li kkunsidra r-raġunijiet għal din it-talba, is-CHMP eżamina l-opinjoni mill-ġdid u kkonferma r-rifjut tal-awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq fl-20 ta' Settembru 2018.

### X'inhu Exondys?

Exondys huwa mediċina li fih is-sustanza attiva eteplirsens. Kellu jkun disponibbli bħala konċentrat għal soluzzjoni għall-infużjoni (dripp) ġo vina.

### Għal xiex kien mistenni li jintuża Exondys?

Exondys kien mistenni li jintuża għall-kura tad-distrofija muskulari Duchenne (DMD) f'pazjenti minn 4 snin 'il fuq b'mutazzjoni (bidla) fil-ġene DMD li tippermetti kura li tinvolvi 'qbiż ta' exon 51'. Dan ifisser li l-ġene DMD tal-pazjenti jista' jagħmel forma ta' xogħol tal-proteina distrofin meta parti mill-ġene msejja exon 51 ma tintużax.

Exondys kien ikklassifikat bħala 'mediċina orfni' (mediċina li tintuża f'mard rari) fit-3 ta' Diċembru 2008, għall-kura ta' DMD. Aktar informazzjoni dwar il-klassifikazzjoni orfni tista' tinstab [hawnhekk](#).

### Kif jaħdem Exondys?

Pazjenti b'DMD ma jipproduċux proteina msejja distrofin. Il-mediċina tippermetti li l-exon 51 tinqabeż u b'hekk tippromwovi l-produzzjoni ta' forma mnaqqsa ta' distrofin. Din il-proteina mqassra hija

mistennija li taġixxi b'mod simili għad-distrofin normali, u tgħin lill-ġisem biex jirrimedja għan-nuqqas ta' distrofin, u b'hekk ittaffi s-sintomi ta' DMD.

### **X'ipprezentat il-kumpanija biex tissostanzja l-applikazzjoni tagħha?**

Il-kumpanija pprezentat ir-riżultati ta' żewġ studji ewlenin li involvew 12-il tifel bejn is-7 u t-13-il sena b'DMD li kellhom mutazzjoni ġenetika suxxettibbli għal qbiż ta' exon 51. Fl-ewwel studju, Exondys tqabbel ma' placebo (kura finta) għall-ewwel 24 ġimgħa, u wara dan, il-pazjenti kollha ġew ikkurati b'Exondys. Il-kejl ewlieni tal-effikaċja kien il-bidla fid-distanza li l-pazjenti rnexxielhom jimxu f'test tal-mixi ta' 6 minuti wara 24 ġimgħa ta' kura.

It-tieni studju, estensjoni tal-ewwel wiehed, involva l-istess pazjenti li kienu kollha kkurati b'Exondys għal 4 snin oħra.

Il-kumpanija qabblet ukoll ir-riżultati ta' dawn l-istudji ma' daww minn varjetà ta' data storika.

### **X'kien it-tħassib ewlieni tas-CHMP li wassal għar-rifjut?**

Il-CHMP kien imħasseb li l-istudju ewlieni, li involva biss 12-il pazjent, ma qabbilx Exondys ma' placebo wara l-24 ġimgħa, li matulhom ma kien hemm l-ebda differenza sinifikanti bejn Exondys u l-placebo fid-distanza ta' mixi ta' 6 minuti. Il-metodi biex jitqabblu r-riżultati tal-istudji prinċipali ma' data storika ma kinux sodisfaċenti biex juru li l-medicina kienet effettiva. Il-Kumitat ikkunsidra li kien hemm bżonn ta' iktar data biex jintwera li l-ammonti baxxi ħafna ta' distrofin mqassra prodotti bħala riżultat tal-kura ta' Exondys iġibu benefiċċji dejjiema rilevanti għall-pazjent.

Għalhekk, is-CHMP kien tal-opinjoni li l-bilanċ bejn il-benefiċċji u r-riskji ta' Exondys fil-kura tad-DMD ma setax jiġi stabbilit u rrakkomanda li l-awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq tiġi rifjutata. Ir-rifjut tal-CHMP ġie kkonfermat wara l-eżaminazzjoni mill-ġdid.

### **X'konsegwenzi għandu dan ir-rifjut għall-pazjenti fi provi kliniċi?**

Il-kumpanija infurmat lil CHMP li ma hemm ebda konsegwenza għal pazjenti li fil-preżent huma inklużi fil-provi kliniċi b'Exondys.

Jekk inti qed tiegħu sehem fi prova klinika u teħtieġ aktar informazzjoni dwar il-kura tiegħek, ikkuntattja lit-tabib li jkun qed jagħtik il-kura fil-prova.