



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

13 november 2020
EMA/594092/2020
EMA/H/C/005123

Intrekking van de aanvraag van een vergunning voor het in de handel brengen van Puldysa (idebenone)

De firma Santhera Pharmaceuticals (Deutschland) GmbH heeft haar aanvraag van een vergunning voor het in de handel brengen van Puldysa ingetrokken. Puldysa was bedoeld voor de behandeling van spierdystrofie van Duchenne.

De firma heeft de aanvraag op 28 oktober 2020 ingetrokken.

Wat is Puldysa en voor welke behandeling was het bedoeld?

Puldysa werd ontwikkeld als een geneesmiddel voor de behandeling van verslechtering van de ademhalingsfunctie bij patiënten met spierdystrofie van Duchenne die niet met corticosteroïden worden behandeld.

Het geneesmiddel bevat de werkzame stof idebenone en zou verkrijgbaar zijn in de vorm van filmomhulde tabletten voor inname via de mond.

Puldysa werd ontwikkeld als een 'hybride geneesmiddel'. Dit betekent dat het middel bedoeld was om gelijkwaardig te zijn aan een 'referentiegeneesmiddel' dat dezelfde werkzame stof bevat en dat al in de Europese Unie is toegelaten. Het referentiegeneesmiddel is Mnesis, een geneesmiddel dat al in Italië is toegelaten voor de behandeling van glaucoom.

Puldysa werd op 20 maart 2007 voor spierdystrofie van Duchenne aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame ziekten). Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel vindt u [hier](#).

Hoe werkt Puldysa?

De werkzame stof in Puldysa, idebenone, is een antioxidant die inwerkt op de mitochondriën (structuren in de cel die de energie produceren die de cel nodig heeft om te kunnen werken). De mitochondriën werken bij patiënten met spierdystrofie van Duchenne niet goed en produceren toxische vormen van zuurstof die schadelijk zijn voor de spiercellen. Men vermoedt dat idebenone helpt bij het herstel van de mitochondriën en de productie van energie en daarmee beschadiging van cellen en het verlies van de spierfunctie, waaronder die van de ademhalingsspieren, voorkomt.

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



Idebenone is ook in de EU goedgekeurd voor de behandeling van gedrags- en cognitieve stoornissen, ataxie van Friedreich en erfelijke opticusneuropathie van Leber.

Welke documentatie heeft de firma ingediend als ondersteuning van de aanvraag?

De firma overlegde de resultaten van drie hoofdstudies onder patiënten met spierdystrofie van Duchenne die niet met corticosteroïden werden behandeld. In twee studies werd Puldysa vergeleken met placebo (een schijnbehandeling) en werd de werkzaamheid na één jaar behandeling gemeten aan de hand van de verbetering van de longfunctie of verandering in PEF ('peak expiratory flow', een indicator van de ademhalingsfunctie). In de derde studie werden met Puldysa behandelde patiënten langer gevolgd om te zien of de effecten op de ademhaling aanhielden.

In welke beoordelingsfase werd de aanvraag ingetrokken?

De firma heeft de aanvraag ingetrokken nadat het Europees Geneesmiddelenbureau de door haar verstrekte informatie had bestudeerd en vragen voor de firma had opgesteld. Nadat het Geneesmiddelenbureau de antwoorden van de firma op de laatste reeks vragen had beoordeeld, waren er toch nog onopgeloste punten.

Wat was de aanbeveling van het Geneesmiddelenbureau op dat moment?

Op basis van de bestudering van de gegevens en het antwoord van de firma op de vragen van het Geneesmiddelenbureau, had het Geneesmiddelenbureau op het ogenblik van de intrekking enkele bedenkingen en was het de voorlopige mening toegedaan dat Puldysa niet kon worden goedgekeurd voor de behandeling van verslechtering van de ademhalingsfunctie bij patiënten met spierdystrofie van Duchenne die niet met corticosteroïden worden behandeld.

Het Geneesmiddelenbureau was van mening dat de gunstige effecten op de longfunctie niet bij alle studies consistent waren en dat het onduidelijk was of deze effecten langdurig konden worden gehandhaafd.

Daarom was het Geneesmiddelenbureau op het ogenblik van de intrekking van mening dat de voordelen van Puldysa niet opwogen tegen de risico's ervan.

Welke redenen gaf de firma voor het intrekken van de aanvraag?

In haar [brief](#) waarin het Geneesmiddelenbureau op de hoogte wordt gebracht van de intrekking van de aanvraag, stelde de firma dat zij de aanvraag intrekt nadat een lopende hoofdstudie die naar verwachting meer bewijs voor Puldysa bij spierdystrofie van Duchenne zou leveren, niet in staat was haar doelstellingen te verwezenlijken.

Heeft deze intrekking gevolgen voor patiënten die deelnemen aan klinische proeven of het geneesmiddel met speciale toestemming krijgen toegediend?

De firma deelde het Geneesmiddelenbureau mee dat alle klinische proeven en programma's waarin patiënten met spierdystrofie van Duchenne Puldysa met speciale toestemming krijgen toegediend, worden stopgezet. Onderzoekers zullen contact opnemen met patiënten om de laatste vervolgbezoeken te plannen.

Indien u deelneemt aan een klinische proef of het geneesmiddel met speciale toestemming krijgt toegediend en meer informatie wenst, neem dan contact op met uw onderzoeksarts.