



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

23 marca 2018 r.
EMA/165563/2018
EMA/H/C/000332

Wycofanie wniosku o zmianę w pozwoleniu na dopuszczenie do obrotu dotyczącego produktu Aranesp (darbepoetyna alfa)

W dniu 21 lutego 2018 r. firma Amgen Europe B.V. oficjalnie powiadomiła Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) o zamiarze wycofania wniosku o dodanie wskazania do stosowania w leczeniu niedokrwistości u dorosłych pacjentów z zespołem mielodysplastycznym do dotychczasowego pozwolenia na dopuszczenie do obrotu.

Co to jest Aranesp?

Aranesp to lek obecnie stosowany w leczeniu objawowej niedokrwistości (niskie stężenie krwinek czerwonych) w następujących grupach pacjentów:

- dorośli i dzieci z przewlekłą niewydolnością nerek (długotrwała i postępująca utrata zdolności nerek do prawidłowego funkcjonowania);
- dorośli przechodzący leczenie niemieloidalnego nowotworu (nowotwór, który nie zaczął się od szpiku kostnego).

Lek Aranesp został dopuszczony do obrotu w czerwcu 2001 r. Zawiera on substancję czynną darbepoetynę alfa.

Więcej informacji na temat obecnych wskazań do stosowania leku Aranesp znajduje się na stronie internetowej Agencji: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports.

W jakim celu miał być stosowany produkt Aranesp?

Lek Aranesp miał być również stosowany w leczeniu niedokrwistości u pacjentów z różnymi postaciami zespołów mielodysplastycznych (zaburzeń szpiku kostnego). W zamierzeniu lek ten miał być stosowany u pacjentów niewymagających częstych procedur przetoczenia krwi, u których występuje niskie lub



średnie ryzyko progresji choroby do postaci ostrej białaczki szpikowej (ang. acute myeloid leukaemia, AML) (rodzaju nowotworu atakującego krwinki białe).

Jak działa produkt Aranesp?

W leczeniu niedokrwistości u pacjentów z różnymi postaciami zespołów mielodysplastycznych lek Aranesp miał działać tak samo, jak w innych zatwierdzonych wcześniej wskazaniach. Darbepoetyna alfa, substancja czynna leku Aranesp, działa dokładnie tak samo jak naturalny hormon o nazwie erytropoetyna wytwarzany w nerkach w celu pobudzania wytwarzania krwinek czerwonych, lecz jest nieco inaczej zbudowana. Oznacza to, że darbepoetyna alfa ma dłuższy czas działania i może być podawana rzadziej niż naturalna erytropoetyna. Dzięki takiemu samemu działaniu jak w przypadku erytropoetyny lek Aranesp pobudza organizm do wytwarzania większej liczby krwinek czerwonych, a tym samym leczy niedokrwistość.

Jaką dokumentację przedstawiła firma na poparcie wniosku?

Wnioskodawca przedstawił dane pochodzące z dwóch badań głównych z udziałem 356 pacjentów z zespołem mielodysplastycznym i niedokrwistością. W pierwszym badaniu lek Aranesp porównywano z placebo (leczenie pozorowane) przez okres 24 tygodni. Głównym kryterium oceny skuteczności było zmniejszenie liczby przeprowadzonych procedur przetoczenia krwinek czerwonych. W drugim badaniu wszyscy pacjenci otrzymywali lek Aranesp przez 13 tygodni, a kryterium oceny był poziom hemoglobiny (głównego składnika krwinek czerwonych) we krwi.

Na jakim etapie znajdowała się ocena w momencie wycofania wniosku?

Wniosek wycofano po przeprowadzeniu przez CHMP oceny dokumentacji wstępnej przedłożonej przez firmę i sformułowaniu listy pytań. Firma wycofała wniosek jeszcze przed udzieleniem odpowiedzi na pytania.

Jakie zalecenia wydał wówczas CHMP?

Na podstawie przeglądu danych w momencie wycofania wniosku CHMP zgłosił pewne zastrzeżenia i wstępna opinia wskazywała, że produkt Aranesp nie może być zatwierdzony w leczeniu niedokrwistości u dorosłych pacjentów z różnymi postaciami zespołów mielodysplastycznych.

Zdaniem CHMP zmiany w projekcie jednego z badań oraz wykluczenie dużej liczby pacjentów z analizy wyników budzi wątpliwości w odniesieniu do poprawności danych. Ponadto w przypadku jednego z badań przeprowadzonego w Stanach Zjednoczonych stwierdzono niezgodność z zaleceniami UE dotyczącymi leczenia pacjentów z zespołem mielodysplastycznym.

Dlatego też zdaniem CHMP w momencie wycofania wniosku wyniki badania nie były uważane za wiarygodne i Komitet uznał, że na podstawie danych przedstawionych przez firmę nie można zatwierdzić zmiany we wskazaniach do stosowania leku.

Jakie przyczyny wycofania wniosku podała firma?

W swoim piśmie powiadamiającym Agencję o wycofaniu wniosku firma oświadczyła, że decyzję o jego wycofaniu podjęto na podstawie opinii CHMP, według której przedstawione dane nie umożliwiają Komitetowi zatwierdzenia wskazania do stosowania produktu w leczeniu zespołów mielodysplastycznych.

Pismo powiadamiające o wycofaniu wniosku jest dostępne [tutaj](#).

Jakie są skutki wycofania dla pacjentów uczestniczących w badaniach klinicznych?

Firma powiadomiła Agencję, że obecnie nie są prowadzone żadne sponsorowane przez Amgen badania kliniczne dotyczące leku Aranesp.

W przypadku uczestnictwa w badaniach klinicznych i potrzeby uzyskania dokładniejszych informacji o leczeniu należy skontaktować się z lekarzem prowadzącym.

Jakie działania podejmuje się w związku ze stosowaniem produktu Aranesp w zastosowaniach objętych zezwoleniem?

Nie ma żadnych skutków stosowania produktu Aranesp w zastosowaniach objętych zezwoleniem.