



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

15 listopada 2019 r.  
EMA/613378/2019  
EMA/H/C/002697/II/0029

## Wycofanie wniosku o zmianę pozwolenia na dopuszczenie do obrotu dotyczącego produktu Opsumit (macytentan)

Firma Janssen-Cilag International NV wycofała wniosek o dopuszczenie produktu Opsumit do stosowania w leczeniu przewlekłego zakrzepowo-zatorowego nadciśnienia płucnego (CTEPH), choroby powodującej wzrost ciśnienia krwi w płucach.

Firma wycofała wniosek 8 listopada 2019 r.

### Co to jest Opsumit i w jakim celu się go stosuje?

Lek Opsumit to lek stosowany w długoterminowym leczeniu tętniczego nadciśnienia płucnego (PAH) — choroby, w przebiegu której nieprawidłowo podwyższone ciśnienie krwi w płucach powoduje wystąpienie takich objawów, jak duszności i zmęczenie. Nieleczone PAH może powodować osłabienie mięśnia sercowego albo niewydolność serca.

Lek Opsumit jest dopuszczony do obrotu w UE od grudnia 2013 r. Zawiera on substancję czynną macytentan i jest dostępny w postaci tabletek.

Więcej informacji na temat obecnych zastosowań leku Opsumit znajduje się na stronie internetowej Agencji: [ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/opsumit](http://ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/opsumit)

### O jaką zmianę wnioskowała firma?

Firma wnioskowała o rozszerzenie zastosowania leku Opsumit o leczenie CTEPH, choroby zbliżonej do PAH, ale o innej przyczynie (głównie zakrzepy krwi).

Oczekiwano, że lek Opsumit będzie stosowany przez pacjentów z CTEPH niekwalifikującym się do leczenia chirurgicznego i wywołującym niepożądane objawy, takie jak duszności lub ból w klatce piersiowej podczas podejmowania zwykłej aktywności fizycznej (II i III klasa czynnościowa wg WHO).

### Jak działa produkt Opsumit?

Substancja czynna produktu Opsumit, macytentan, działa poprzez blokowanie receptorów endoteliny (substancji naturalnie produkowanej w organizmie) w naczyniach krwionośnych. Przyłączenie się endoteliny do tych receptorów powoduje zwężenie światła naczyń krwionośnych i wzrost ciśnienia krwi.

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Dzięki zablokowaniu tych receptorów w płucach macytentan zapobiega temu zjawisku, rozszerzając naczynia krwionośne w płucach i zmniejszając w ten sposób ciśnienie krwi.

Oczekiwano, że produkt Opsumit będzie działał u pacjentów z CTEPH tak samo, jak u pacjentów z PAH.

### **Jaką dokumentację przedstawiła firma na poparcie wniosku?**

Firma przedstawiła dane z badania głównego z udziałem 80 pacjentów z CTEPH niekwalifikującym się do leczenia chirurgicznego, w którym pacjentom podawano lek Opsumit albo placebo (leczenie pozorowane). W badaniu sprawdzano poprawę naczyniowego oporu płucnego (PVR) po upływie czterech miesięcy. Naczyniowy opór płucny to miara pracy, jaką musi wykonać serce, by przepompować krew przez naczynia krwionośne w płucach.

### **Na jakim etapie znajdowała się ocena w momencie wycofania wniosku?**

Wniosek wycofano po przeprowadzeniu przez Europejską Agencję Leków oceny wstępnych informacji przedłożonych przez firmę i sformułowaniu pytań do firmy. Po tym, jak Agencja oceniła odpowiedzi firmy na te pytania, kilka kwestii pozostało nierozwiązanych.

### **Jakie zalecenia wydała wówczas Agencja?**

W momencie wycofania wniosku Agencja zgłosiła pewne zastrzeżenia na podstawie przeglądu danych i odpowiedzi firmy na pytania Agencji i wstępna opinia wskazywała, że produkt Opsumit nie może być zatwierdzony w leczeniu CTEPH.

Wyniki badania głównego były trudne do zinterpretowania, występowało też kilka odstępstw od protokołu badania, które mogły obniżyć wiarygodność wyników. Dlatego też w momencie wycofania wniosku zdaniem Agencji firma nie dostarczyła wystarczającej ilości informacji na poparcie wniosku dotyczącego zmiany pozwolenia na dopuszczenie do obrotu produktu Opsumit.

### **Jakie przyczyny wycofania wniosku podała firma?**

W swoim [piśmie](#) powiadającym Agencję o wycofaniu wniosku firma oświadczyła, że wycofała wniosek po otrzymaniu informacji zwrotnych od Komitetu EMA ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) na temat badania i sposobu jego prowadzenia.

### **Jakie są skutki wycofania dla pacjentów uczestniczących w badaniach klinicznych?**

Firma powiadomiła Agencję, że nie spodziewa się żadnych konsekwencji w odniesieniu do trwających badań klinicznych produktu Opsumit. W przypadku uczestnictwa w badaniach klinicznych i potrzeby uzyskania dokładniejszych informacji o leczeniu, należy skontaktować się z lekarzem prowadzącym badanie.

### **Jakie działania podejmuje się w związku ze stosowaniem produktu Opsumit w leczeniu PAH?**

Nie ma żadnych skutków stosowania produktu Opsumit w zarejestrowanym wskazaniu.