



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

13 listopada 2020 r.  
EMA/594092/2020  
EMA/H/C/005123

## Wycofanie wniosku o dopuszczenie do obrotu dotyczącego produktu Puldysa (idebenon)

Firma Santhera Pharmaceuticals (Deutschland) GmbH wycofała swój wniosek o dopuszczenie do obrotu produktu Puldysa, który miał być stosowany w leczeniu dystrofii mięśniowej Duchenne'a.

Firma wycofała wniosek w dniu 28 października 2020 r.

### Co to jest produkt Puldysa i w jakim celu miał być stosowany?

Produkt Puldysa opracowano jako lek stosowany w leczeniu nasilających się problemów z oddychaniem u pacjentów z dystrofią mięśniową Duchenne'a, którzy nie otrzymują kortykosteroidów.

Substancją czynną zawartą w leku jest idebenon. Lek miał być dostępny w postaci tabletek powlekanych do stosowania doustnego.

Lek opracowano jako „lek hybrydowy”. Oznacza to, że miał on być podobny do leku referencyjnego zawierającego tę samą substancję czynną, który jest już dopuszczony do obrotu w Unii Europejskiej. Lekiem referencyjnym jest Mnesis dopuszczony do obrotu we Włoszech ze wskazaniem do stosowania w leczeniu jaskry.

W dniu 20 marca 2007 r. lek Puldysa uznano za „lek sierocy” (lek stosowany w rzadkich chorobach) w leczeniu dystrofii mięśniowej Duchenne'a. Więcej informacji na temat uznania za lek sierocy można znaleźć [tutaj](#).

### Jak działa lek Puldysa

Substancja czynna leku Puldysa, idebenon, jest przeciwutleniaczem oddziałującym na mitochondria (struktury wewnątrzkomórkowe wytwarzające energię niezbędną dla funkcjonowania komórek). U pacjentów z dystrofią mięśniową Duchenne'a mitochondria nie działają prawidłowo i wytwarzają toksyczne formy tlenu, które uszkadzają komórki mięśniowe. Uważa się, że idebenon poprawia wytwarzanie energii poprzez przywrócenie działania mitochondriów, zapobiegając w ten sposób uszkodzeniu komórek i utracie czynności mięśni, w tym również mięśni oddechowych.

---

**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



Idebenon jest również dopuszczony do obrotu na terenie UE w leczeniu zaburzeń funkcji poznawczych i behawioralnych, ataksji Friedreicha i dziedzicznej neuropatii nerwu wzrokowego Lebera.

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

Firma przedstawiła wyniki z trzech badań głównych z udziałem pacjentów z dystrofią mięśniową Duchenne'a, którzy nie byli leczeni kortykosteroidami. W dwóch badaniach lek Puldysa porównywano z placebo (leczeniem pozorowanym), a skuteczność mierzono na podstawie poprawy czynności płuc lub zmiany PEF (napływ oddechowy, wskaźnik czynności oddechowych) po roku leczenia. W trzecim badaniu pacjentów otrzymujących lek Puldysa monitorowano dłużej w celu stwierdzenia, czy skutki jego działania na oddychanie utrzymywały się.

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

Wniosek wycofano po przeprowadzeniu przez Europejską Agencję Leków oceny informacji przedłożonych przez firmę i przygotowaniu listy pytań. Po tym, jak Agencja oceniła odpowiedzi firmy na ostatnią serię pytań, kilka kwestii pozostało nierozwiązanych.

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

Na podstawie przeglądu danych i odpowiedzi firmy na pytania Agencji w momencie wycofania wniosku Agencja wciąż zgłaszała pewne zastrzeżenia i w swojej wstępnej opinii wskazywała, że lek Puldysa nie może być zatwierdzony w leczeniu nasilających się problemów z oddychaniem u pacjentów z dystrofią mięśniową Duchenne'a, którzy nie otrzymują kortykosteroidów.

Agencja uznała, że korzystne skutki działania na czynność płuc wykazane w różnych badaniach nie były spójne i nie było jasne, czy mogły się one utrzymywać długoterminowo.

Dlatego też w momencie wycofania wniosku zdaniem Agencji korzyści ze stosowania produktu Puldysa nie przewyższały ryzyka.

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

W swoim [piśmie](#) powiadającym Agencję o wycofaniu wniosku firma oświadczyła, że wycofuje wniosek po przerwaniu trwającego badania głównego, które miało dostarczyć dalszych dowodów dotyczących stosowania produktu Puldysa w dystrofii mięśniowej Duchenne'a, gdyż osiągnięcie celu nie było możliwe.

### **Jakie są skutki wycofania dla pacjentów uczestniczących w badaniach klinicznych lub programach „leczenia ostatniej szansy”?**

Firma powiadomiła Agencję, że przerywa wszystkie badania kliniczne i programy „leczenia ostatniej szansy” z użyciem produktu Puldysa. Lekarze prowadzący badania kliniczne skontaktują się z pacjentami w celu zorganizowania ostatecznych wizyt kontrolnych.

Osoby biorące udział w badaniu klinicznym lub programie „leczenia ostatniej szansy”, które potrzebują dokładniejszych informacji, powinny zwrócić się do lekarza prowadzącego badanie kliniczne.