



European Medicines Agency

Londyn, dnia 26 czerwca 2008 r.
Nr ref. dokumentu: EMEA/378428/2008

**PYTANIA I ODPOWIEDZI DOTYCZĄCE WYCOFANIA WNIOSKU O DOPUSZCZENIE
DO OBROTU
dotyczące preparatu
SPANIDIN**

Nieopatentowana nazwa międzynarodowa: ***gusperimus***

W dniu 17 czerwca 2008 r. firma Euro Nippon Kayaku GmbH oficjalnie powiadomiła Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) o zamiarze wycofania wniosku o dopuszczenie do obrotu preparatu Spanidin, stosowanego w indukcji remisji u dorosłych pacjentów z ziarniniakowatością Wegenera. Preparat Spanidin został oznaczony jako sierocy produkt leczniczy w dniu 29 marca 2001 r.

Co to jest Spanidin?

Preparat Spanidin ma postać proszku, z którego przygotowuje się roztwór do wstrzykiwań. Substancją czynną preparatu jest gusperimus.

W jakim celu zamierza się stosować preparat Spanidin?

Preparat Spanidin miał być stosowany w kontrolowaniu objawów ziarniniakowatości Wegenera u pacjentów, u których inne rodzaje leczenia nie były skuteczne. Ziarniniakowatość Wegenera jest rzadką chorobą autoimmunologiczną (chorobą wywołaną przez własny układ odpornościowy atakujący normalną tkankę). W tej chorobie ten układ odpornościowy atakuje neutrofile (rodzaj białych komórek krwi) wywołując zapalenie małych i średniej wielkości naczyń krwionośnych oraz tworzenie się ziarniaków (skupienia białych komórek krwi). Może to powodować różne objawy dotyczące głównie dróg oddechowych, płuc i nerek. Pozostawienie choroby nieleczonej może spowodować uszkodzenie organu, a nawet śmierć.

Jaki jest zamierzony cel działania preparatu Spanidin?

Substancja czynna preparatu Spanidin, gusperimus, jest lekiem immunosupresyjnym, co oznacza, że zmniejsza działanie układu odpornościowego (naturalny system obronny organizmu). Substancja ma za zadanie działać w ziarniniakowatości Wegenera poprzez zablokowanie wzrostu i działania białych krwinek zwanych limfocytami, które odpowiedzialne są za proces zapalny. Poprzez zmniejszenie liczby limfocytów i poprzez przeciwdziałanie ich aktywności preparat Spanidin ma na celu ograniczenie zapalenia w czerwonych krwinkach wywołującego objawy choroby.

Jaka dokumentacja została przedstawiona przez firmę na poparcie wniosku złożonego do CHMP?

Zanim przeprowadzono badania na ludziach działanie preparatu Spanidin zbadano w modelach eksperymentalnych.

Preparat Spanidin zbadano w jednym głównym badaniu z udziałem 45 pacjentów z ziarniniakowatością Wegenera, którzy wykazali nietolerancję na standardowe leczenie. Pacjenci ci przyjmowali Spanidin w sześciu „cyklach”, z których każdy składał się z trzech tygodni leczenia z jednodobową przerwą. Główną miarą skuteczności była liczba pacjentów, u których nastąpiła remisja (brak oznak aktywnej choroby) przez co najmniej dwa miesiące leczenia. W tym badaniu preparatu Spanidin nie porównywano z innymi rodzajami leczenia, ale pacjenci mogli przyjmować kortykosteroidy (grupa leków immunosupresyjnych) jako uzupełnienie preparatu Spanidin.

Na jakim etapie znajdowała się ocena w momencie wycofania wniosku?

Wniosek został wycofany przez firmę w 194. dniu procedury. Po dokonaniu przez CHMP oceny odpowiedzi firmy na listę pytań, pewne kwestie wciąż pozostawały nierozwiązane.

Ocena nowego wniosku zajmuje zwykle CHMP do 210 dni. Na podstawie przeglądu wstępnej dokumentacji CHMP przygotowuje listę pytań w 120. dniu, które są wysyłane do firmy. Po dostarczeniu przez firmę odpowiedzi na te pytania CHMP dokonuje ich oceny i przed wydaniem opinii może zażądać w 180. dniu odpowiedzi na pozostałe pytania. Po wydaniu opinii przez CHMP Komisja Europejska potrzebuje około dwóch miesięcy na wydanie pozwolenia na dopuszczenie do obrotu.

Jakie zalecenie wydał wówczas CHMP?

Na podstawie przeglądu danych i odpowiedzi firmy na pytania CHMP, w momencie wycofania pojawiły się obawy ze strony CHMP, a wstępna opinia wskazywała, że Spanidin nie zostanie dopuszczony do indukcji remisji u dorosłych pacjentów cierpiących na klinicznie oporną ziarniniakowatość Wegenera.

Jakie były główne zastrzeżenia, które wyraził CHMP w chwili wycofania wniosku?

CHMP wyraził obawę, że główne badanie nie było w stanie wykazać skuteczności preparatu Spanidin ze względu na sposób, w jaki zostało zaplanowane i przeprowadzone. Badanie objęło pacjentów, którzy mogli przyjmować inne leki jako leczenie choroby, także nie mogłoby być mowy o nietolerancji. Ponadto, preparatu Spanidin nie porównano z żadnym innym lekiem, tak więc nie było możliwe rozróżnienie skutków oddziaływania preparatu Spanidin i steroidów. CHMP wyraził również obawy, że w badaniu udział wzięli pacjenci, u których leczenie indukcyjne nie było konieczne oraz inni, u których nie wystąpiły objawy klasycznej postaci ziarniniakowatości Wegenera atakującej drogi oddechowe, płuca czy nerki.

CHMP zauważył, że konieczne byłoby dodatkowe badanie, by rozwiązać te obawy. Do dodatkowego badania należałoby włączyć pacjentów, u których występuje rzeczywista nietolerancja na inne rodzaje leczenia albo należałoby porównać Spanidin bezpośrednio z cyklofosfamidem (standardowe leczenie do indukcji remisji w ziarniniakowatości Wegenera).

Dlatego też, zdaniem CHMP, w momencie wycofania nie przedstawiono w wystarczającym stopniu korzyści związanych ze stosowaniem preparatu Spanidin, i nie przeważały one nad rozpoznany ryzykiem.

Jakie przyczyny wycofania wniosku podała firma?

Pismo od firmy powiadamiające EMEA o wycofaniu wniosku znajduje się [tutaj](#).

Jakie są konsekwencje wycofania wniosku dla pacjentów biorących udział w badaniach klinicznych lub „programach współczucia” z użyciem preparatu Spanidin?

Firma poinformowała CHMP, że nie ma żadnych skutków dla pacjentów obecnie uczestniczących w badaniach klinicznych lub „programach współczucia” z użyciem preparatu Spanidin. W przypadku uczestnictwa w badaniach klinicznych lub „programie współczucia” i potrzeby uzyskania dokładniejszych informacji o leczeniu, należy skontaktować się z lekarzem prowadzącym.