

Londyn, dnia 19 grudnia 2008 r.

Doc. Ref. EMEA/651597/2008

**Pytania i odpowiedzi dotyczące wycofania wniosku o dopuszczenie do obrotu
dotyczące preparatu
Theraloc**

Nieopatentowana nazwa międzynarodowa: **nimotuzumab**

W dniu 1 grudnia 2008 r. firma Oncoscience AG oficjalnie powiadomiła Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) o zamiarze wycofania wniosku o dopuszczenie do obrotu preparatu Theraloc, stosowanego w leczeniu opornych na leczenie lub nawracających glejaków u dzieci i młodzieży. W dniu 2 września 2004 r. preparat Theraloc został oznaczony jako sierocy produkt leczniczy.

Co to jest Theraloc?

Preparat Theraloc jest koncentratem do sporządzania roztworu do infuzji (wlewu dożylnego). Zawiera substancję czynną nimotuzumab.

W jakim celu miał być stosowany preparat Theraloc?

Preparat Theraloc miał być stosowany w leczeniu glejaków o wysokim stopniu złośliwości u młodzieży i dzieci w wieku od 3 lat. Glejak to rodzaj guza mózgu, który wywodzi się z komórek glejowych (komórek, które otaczają i podtrzymują komórki nerwowe). Preparat Theraloc miał być stosowany w przypadkach glejaków „opornych” (nieodpowiadających na inny rodzaj leczenia) lub „nawracających” (które powracały po wcześniej stosowanym leczeniu).

Jakie jest oczekiwane działanie preparatu Theraloc?

Substancja czynna preparatu Theraloc, nimotuzumab, jest przeciwciałem monoklonalnym. Przeciwciało monoklonalne to przeciwciało (rodzaj białka), które zostało „zaprogramowane”, aby rozpoznawać specyficzną strukturę (zwaną antygenem) występującą na pewnych komórkach w organizmie i wiązać się z nią. Nimotuzumab wiąże się z antygenem zwanym receptorem nabłonkowego czynnika wzrostu (EGFR), białkiem, które występuje na powierzchni pewnych komórek guza. Pobudzony EGFR wspomaga wzrost, namnażanie i rozprzestrzenianie się komórek guza. Poprzez blokowanie EGFR nimotuzumab miał opóźniać rozwój glejaka.

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

Zanim przeprowadzono badania na ludziach, działanie preparatu Theraloc zbadano najpierw w modelach eksperymentalnych.

Preparat Theraloc został oceniony w jednym głównym badaniu z udziałem 47 dzieci i nastolatków z glejakami, u których nie było możliwości zastosowania innego, możliwie skutecznego leczenia. Preparat Theraloc nie był porównywany z żadnym innym lekiem. Główną miarą skuteczności była liczba pacjentów, którzy odpowiedzieli na leczenie. Za odpowiedź na leczenie uznawano: zanik guza, zmniejszenie się guza lub niepowiększanie się guza.

Na jakim etapie znajdowała się ocena w momencie wycofania wniosku?

Wniosek został wycofany przez firmę w 173 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?

W momencie wycofania CHMP zgłosił zastrzeżenia na podstawie przeglądu danych i odpowiedzi firmy, i wstępna opinia wskazywała, że preparat Theraloc nie może być zatwierdzony w leczeniu dzieci i młodzieży z nawracającymi glejakami o wysokim stopniu złośliwości.

Jakie były główne zastrzeżenia CHMP?

Zastrzeżenia CHMP dotyczyły niedostarczenia przez firmę wystarczających danych, aby wykazać, że preparat Theraloc może być wytwarzany w godny zaufania sposób, a także przedstawienia niedostatecznych informacji dotyczących przetwarzania produktu leczniczego w organizmie. Komitet wyraził obawy, że korzyści wynikające ze stosowania preparatu Theraloc nie zostały wykazane, ponieważ w głównym badaniu nie wykazano korzystnego wpływu na przeżycie, i u żadnego z pacjentów leczonych preparatem Theraloc nie obserwowano całkowitego zniknięcia guza. Ponadto nie było jasne, czy wszyscy pacjenci włączeni do badania mieli oporną na leczenie lub nawracającą chorobę.

CHMP miał także zastrzeżenia dotyczące bezpieczeństwa leku. Nie przedstawiono informacji, czy organizm będzie wytwarzać przeciwciała przeciwko lekowi i zaobserwowano wysoki odsetek działań niepożądanych.

Dlatego też w momencie wycofania, według CHMP nie przedstawiono w wystarczającym stopniu korzyści związanych ze stosowaniem preparatu Theraloc, i nie przeważały one nad rozpoznanym ryzykiem.

Jakie przyczyny wycofania wniosku podała firma?

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

Jakie są skutki wycofania dla pacjentów uczestniczących w badaniach klinicznych/ „programach współczucia” z użyciem preparatu Theraloc?

Firma poinformowała CHMP, że nie ma żadnych skutków dla pacjentów obecnie biorących udział w badaniach klinicznych lub „programach współczucia” z użyciem preparatu Theraloc.

W przypadku uczestnictwa w badaniach klinicznych lub „programie współczucia” i potrzeby dokładniejszych informacji o leczeniu, należy skontaktować się z lekarzem prowadzącym.