

Londyn, dnia 19 lutego 2009 r.
Nr ref. dokumentu: EMEA/90664/2009

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

Vorinostat MSD

Nieopatentowana nazwa międzynarodowa: **vorinostat**

Dnia 13 lutego 2009 r., firma Merck Sharp & Dohme Limited oficjalnie poinformowała Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) o zamiarze wycofania wniosku o dopuszczenie preparatu Vorinostat MSD do obrotu, przeznaczonego do leczenia chłoniaka T-komórkowego skóry. W dniu 21 czerwca 2004 r. preparat Vorinostat MSD został oznaczony jako sierocy produkt leczniczy.

Co to jest Vorinostat MSD?

Vorinostat MSD jest lekiem zawierającym substancję czynną vorinostat. Preparat miał być dostępny w postaci kapsułek.

W jakim celu miał być stosowany preparat Vorinostat MSD?

Vorinostat MSD miał być stosowany w leczeniu dorosłych osób z zaawansowanym chłoniakiem T-komórkowym skóry. CTCL jest rzadką postacią chłoniaka (nowotwór tkanki chłonnej) objawiającą się rozwojem niektórych białych krwinek w skórze (limfocyty T). Vorinostat MSD miał być stosowany u pacjentów z postępującym (pogarszający się stan zdrowia), przewlekłym (nieodpowiadającym na leczenie) lub nawracającym nowotworem, i u których nie wystąpiła reakcja na dwa inne leczenie ogólnoustrojowe.

Jakie jest oczekiwane działanie preparatu Vorinostat MSD?

Substancja czynna preparatu Vorinostat MSD, vorinostat, blokuje działanie białek zwanych deacetylazami histonów, odpowiedzialnych za aktywację i dezaktywację genów w komórkach. W CTCL Vorinostat MSD miał w odpowiednim czasie powstrzymać od dezaktywacji geny hamujące podział i namnażanie się komórek nowotworowych. Miało to doprowadzić do ograniczenia namnażania się i podziału limfocytów T.

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

Zanim przeprowadzono badania na ludziach, działanie preparatu Vorinostat MSD zbadano w modelach eksperymentalnych.

Firma przedstawiła wyniki jednego badania głównego, w którym 74 dorosłym osobom z zaawansowanym CTCL podano preparat Vorinostat MSD. Wszyscy pacjenci poddani badaniu cierpieli na postępującą, przewlekłą lub nawracającą chorobę, i poddani zostali dwóm leczeniom ogólnoustrojowym. Leczenia preparatem Vorinostat MSD nie porównywano z żadnym innym leczeniem. Główną miarą skuteczności był obszar zaatakowanej przez chorobę skóry oraz nasilenie owrzodzenia ran skóry.

Na jakim etapie znajdowała się ocena w momencie wycofania wniosku?

Wniosek został wycofany przez firmę w 206. dniu postępowania. Po dokonaniu przez CHMP oceny odpowiedzi firmy na listę pytań, pewne kwestie wciąż pozostawały nierozwiązane.

Ocena nowego wniosku zajmuje CHMP zwykle do 210 dni. Na podstawie przeglądu wstępnej dokumentacji Komitet przygotowuje listę pytań (w 120. dniu), które są wysyłane do firmy. Po

dostarczeniu przez firmę odpowiedzi na pytania Komitet 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 Komitetu, i wstępna opinia wskazywała, że preparat Vorinostat MSD nie zostanie dopuszczony do leczenia zaawansowanego CTCL.

Jakie były główne zastrzeżenia CHMP?

Komitet miał zastrzeżenia do sposobu opracowania badania głównego. Ze względu na to, że preparatu nie porównywano z żadnym innym leczeniem, nie można było odpowiednio ocenić bezpieczeństwa jego stosowania i skuteczności. Ponadto w badaniu nie obserwowano czasu przeżycia pacjentów. W szczególności obawy CHMP budziło ryzyko chorób zakrzepowo-zatorowych (powstawanie zakrzepów krwi w naczyniach krwionośnych) u pacjentów przyjmujących preparat Vorinostat MSD. Dlatego też, według CHMP, w momencie wycofania nie wykazano w wystarczającym stopniu korzyści związanych ze stosowaniem preparatu Vorinostat MSD, i nie przeważały one nad rozpoznany ryzykiem.

Jakie przyczyny wycofania wniosku podała firma?

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

Jakie są skutki wycofania wniosku dla pacjentów uczestniczących w badaniach klinicznych lub „programach współzucia” z użyciem preparatu Vorinostat MSD?

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

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