

Londyn, dnia 20 sierpnia 2009 r.
Nr ref. dokumentu: EMEA/702720/2009
EMA/H/C/1069

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

W dniu 28 lipca 2009 r. firma Glaxo Group Limited oficjalnie powiadomiła Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) o zamiarze wycofania wniosku o dopuszczenie do obrotu preparatu Bosatria stosowanego w leczeniu dorosłych pacjentów z zespołem hipereozynofilowym w celu zmniejszenia lub wyeliminowania potrzeby stosowania kortykosteroidów i obniżenia liczby eozynofiliów we krwi.

Co to jest Bosatria?

Preparat Bosatria to proszek do sporządzania roztworu do infuzji (wlewu dożylnego). Zawiera substancję czynną mepolizumab.

W jakim celu miał być stosowany preparat Bosatria?

Preparat Bosatria miał być stosowany w leczeniu dorosłych pacjentów z zespołem hipereozynofilowym. Jest to choroba, w której eozynofile (rodzaj krwinek białych) zaczynają namnażać się w sposób niekontrolowany, gromadzą się w tkankach wielu narządów i mogą prowadzić do zniszczenia narządów, takich jak serce, wątroba i płuca. Lek Bosatria miał być stosowany u pacjentów, u których stwierdzono brak genu o nazwie „gen fuzyjny FIP1L1-PDGRF”, w celu zmniejszenia lub wyeliminowania potrzeby stosowania kortykosteroidów (steroidów stosowanych w leczeniu tej choroby) i obniżenia liczby eozynofiliów we krwi.

W dniu 29 lipca 2004 r. preparat Bosatria został oznaczony jako sierocy produkt leczniczy (lek stosowany w rzadkich chorobach) w leczeniu zespołu hipereozynofilowego.

Jakie jest oczekiwane działanie preparatu Bosatria?

Substancja czynna preparatu Bosatria, mepolizumab, jest przeciwciałem monoklonalnym. Przeciwciało monoklonalne to przeciwciało (rodzaj białka), które zostało „zaprogramowane” tak, aby rozpoznawać specyficzną strukturę (zwaną antygenem) występującą w organizmie i wiązać się z nią. Mepolizumab został „zaprogramowany”, tak aby wiązać się z przekaźnikową substancją chemiczną o nazwie interleukina 5 (IL-5), która bierze udział w procesie namnażania eozynofiliów. Poprzez wiązanie z IL-5 mepolizumab miał zmniejszać gromadzenie się eozynofiliów we krwi i w ten sposób znosić objawy u pacjentów z zespołem hipereozynofilowym.

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

Zanim przeprowadzono badania na ludziach, działanie preparatu Bosatria zbadano w modelach eksperymentalnych. W jednym badaniu głównym z udziałem 85 dorosłych pacjentów z zespołem hipereozynofilowym porównano preparat Bosatria z placebo (leczenie obojętne). U wszystkich pacjentów stwierdzono brak genu fuzyjnego FIP1L1-PDGRF, i stosowano leczenie prednizonem (kortykosteroid), które pomagało w stabilizacji objawów choroby. Podczas badania pacjenci otrzymywali preparat Bosatria lub placebo, a ilość stosowanego prednizonu była stopniowo zmniejszana. Główną miarą skuteczności stanowiła liczba pacjentów, u których możliwe było obniżenie dobowej dawki prednizonu do 10 mg lub mniej na okres 8 tygodni.

Na jakim etapie znajdowała się ocena w momencie wycofania wniosku?

Wniosek został wycofany przez firmę w 180. 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 decyzji w sprawie tej opinii.

Jakie zalecenie wydał wówczas CHMP?

W momencie wycofania CHMP zgłosił zastrzeżenia na podstawie przeglądu danych i odpowiedzi firmy na pytania CHMP, i wstępna opinia wskazywała, że preparat Bosatria nie może być zatwierdzony w leczeniu zespołu hipereozynofilowego u dorosłych pacjentów, u których stwierdzono brak genu fuzyjnego FIP1L1-PDGFR, w celu zmniejszenia lub wyeliminowania potrzeby stosowania kortykosteroidów i obniżenia liczby eozynofili we krwi.

Jakie były główne zastrzeżenia CHMP?

Zdaniem CHMP w badaniu głównym nie wykazano dostatecznie, że preparat Bosatria skutecznie zmniejsza potrzebę stosowania kortykosteroidów. CHMP zgłosił również zastrzeżenia, że zastosowana przez firmę metoda ilościowej oceny różnych postaci substancji czynnej w leku nie była właściwa. Dlatego też w momencie wycofania według CHMP korzyści związane ze stosowaniem preparatu Bosatria nie przeważały nad ryzykiem w leczeniu zespołu hipereozynofilowego u dorosłych pacjentów, u których stwierdzono brak genu fuzyjnego FIP1L1-PDGFR, w celu zmniejszenia lub wyeliminowania potrzeby stosowania kortykosteroidów i obniżenia liczby eozynofili we krwi.

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 współuczucia z użyciem preparatu Bosatria?

Firma poinformowała CHMP, że preparat Bosatria będzie nadal dostępny dla pacjentów biorących udział w otwartej fazie przedłużenia badania i programach współuczucia. W przypadku uczestnictwa w badaniach klinicznych lub programie współuczucia i potrzeby dokładniejszych informacji o leczeniu należy skontaktować się z lekarzem prowadzącym.

Streszczenie opinii Komitetu ds. Sierocych Produktów Leczniczych dotyczące preparatu Bosatria znajduje się [tutaj](#).