



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

20 stycznia 2011 r.
EMA/13310/2011
EMA/H/C/001244

Pytania i odpowiedzi

Wycofanie wniosku o dopuszczenie do obrotu dotyczącego preparatu Tekinex (mepebursztynian omacetaksyny)

W dniu 11 stycznia 2011 r. firma ChemGenex Europe SAS oficjalnie powiadomiła Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) o zamiarze wycofania wniosku o dopuszczenie preparatu Tekinex do obrotu, który miał być stosowany w leczeniu pacjentów z przewlekłą białaczką szpikową z obecnością chromosomu Philadelphia z mutacją „domeny kinazy Bcr-Abl T315I” po niepowodzeniu na wcześniej stosowane leczenie imatynibem.

Co to jest Tekinex?

Preparat Tekinex to lek zawierający substancję czynną mepebursztynian omacetaksyny. Lek miał być dostępny w postaci proszku do sporządzania roztworu do wstrzykiwań.

W jakim celu miał być stosowany preparat Tekinex?

Preparat Tekinex miał być stosowany u dorosłych pacjentów z przewlekłą białaczką szpikową z obecnością chromosomu Philadelphia, (ang. chronic myeloid leukaemia, CML – nowotwór złośliwy granulocytów, rodzaju krwinek białych). Chromosom Philadelphia to chromosom zawierający pewne geny, w których doszło do przekształceń. Wytwarza enzym kinazę Bcr-Abl, który doprowadza do rozwoju białaczki.

Lek miał być stosowany u pacjentów po niepowodzeniu wcześniej stosowanego leczenia imatynibem (inny lek przeciwnowotworowy) prawdopodobnie z powodu mutacji genu kinazy Bcr-Abl zwanej „mutacją T315I”.

Ze względu na niską liczbę pacjentów z przewlekłą białaczką szpikową choroba ta jest uważana za rzadko występującą, zatem w dniu 2 września 2004 r. preparat Tekinex uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach).



Jakie jest oczekiwane działanie preparatu Tekinex?

Substancja czynna preparatu Tekinex, omacetaksyna, jest inhibitorem syntezy protein. Jest pochodną haringtoniny, substancji wyekstrahowanej z rośliny o nazwie Aglaonema (ang. Chinese evergreen). Sposób jej działania jest niejasny, ale uważa się, że zakłóca ona wytwarzanie enzymu, kinazy tyrozynowej Bcr-Abl.

Inne leki znane jako inhibitory kinazy tyrozynowej, w tym imatynib, działają w CML poprzez bezpośrednie wiązanie się z enzymem kinazy tyrozynowej Bcr-Abl. Mutacja T315I zmienia pewne cechy enzymu, co utrudnia to wiązanie. Ponieważ omacetaksyna nie działa w ten sposób, mutacja T315I nie ma wpływu na jej działanie. Dlatego spodziewano się, że preparat Tekinex będzie wywierał wpływ u pacjentów z obecnością chromosomu Philadelphia z mutacją T315I.

Jaka dokumentacja została przedstawiona przez firmę na poparcie wniosku?

Zanim przeprowadzono badania na ludziach, działanie preparatu Tekinex zbadano w modelach eksperymentalnych. Firma przedstawiła wyniki głównego badania, do którego włączono 66 pacjentów z przewlekłą białaczką szpikową z obecnością chromosomu Philadelphia i mutacją T315I, po niepowodzeniu wcześniej stosowanego leczenia imatynibem. Preparat Tekinex porównano bezpośrednio z innymi rodzajami leczenia. W badaniu oceniano odpowiedź na leczenie w oparciu o wyniki testów krwi dotyczących oceny aktywności procesu nowotworowego.

Na jakim etapie znajdowała się ocena w momencie wycofania wniosku?

Wniosek został wycofany przez firmę w 120. dniu procedury. Oznacza to, że CHMP ocenił wstępną dokumentację przedstawioną przez firmę i sformułował listę pytań. Firma wycofała wniosek przed udzieleniem odpowiedzi na pytania.

Jakie zalecenie wydał wówczas CHMP?

W momencie wycofania CHMP zgłosił zastrzeżenia na podstawie przeglądu danych i wstępna opinia wskazywała, że preparat Tekinex nie może być zatwierdzony.

CHMP uznał, że korzyści ze stosowania leku są niepewne. Ponadto obserwacja pacjentów po leczeniu była niewystarczająca i Komitet miał wątpliwości, czy lek jest na tyle bezpieczny, aby mógł być podawany przez samych pacjentów, tak jak zakładała firma. CHMP miał także zastrzeżenia dotyczące dawek stosowanych w badaniu i kryteriów zastosowanych w celu pomiaru skuteczności leku. Ponadto po kontroli ośrodków badania Komitet zwrócił uwagę na pewne nieścisłości we wniosku, które mogły mieć wpływ na wiarygodność wyników badań.

Dlatego też w momencie wycofania według CHMP korzyści ze stosowania preparatu Tekinex nie przewyższały ryzyka.

Jakie przyczyny wycofania wniosku podała firma?

Pismo od firmy powiadamiające Agencję o wycofaniu wniosku jest dostępne w zakładce „All documents”.

Jakie są skutki wycofania dla pacjentów uczestniczących w badaniach klinicznych lub programach współczucia?

Firma poinformowała CHMP, że badania kliniczne dotyczące oceny preparatu Tekinex będą kontynuowane.

Streszczenie opinii Komitetu ds. Sierocych Produktów Leczniczych dotyczącej preparatu Tekinex znajduje się na stronie internetowej Agencji: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designations.