

18 marca 2010 r.
EMA/265142/2010
EMA/H/C/1115

Pytania i odpowiedzi

Wycofanie wniosku o dopuszczenie do obrotu dotyczącego preparatu Tyvaso (treprostynil sodowy)

W dniu 17 lutego 2010 r. firma United Therapeutics Europe Ltd oficjalnie powiadomiła Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) o zamiarze wycofania wniosku o dopuszczenie do obrotu preparatu Tyvaso przeznaczonego do stosowania w leczeniu uzupełniającym pacjentów z tętniczym nadciśnieniem płucnym.

Co to jest Tyvaso?

Preparat Tyvaso to lek zawierający substancję czynną treprostynil sodowy. Lek miał być dostępny w postaci roztworu do nebulizacji.

W jakim celu miał być stosowany preparat Tyvaso?

Preparat Tyvaso miał być stosowany w leczeniu pacjentów z tętniczym nadciśnieniem płucnym (ang. pulmonary arterial hypertension, PAH) w celu poprawy tolerancji wysiłku (zdolności do podejmowania wysiłku fizycznego). PAH to nieprawidłowo wysokie ciśnienie krwi w tętnicach płuc.

Preparat Tyvaso miał być stosowany u pacjentów z PAH „w klasie czynnościowej III wg klasyfikacji Nowojorskiego Towarzystwa Chorób Serca” leczonych także za pomocą antagonisty receptora endoteliny lub inhibitora fosfodiesterazy typu 5 (inne leki stosowane w PAH). Klasa ta określa stopień ciężkości PAH: klasa III oznacza znaczne ograniczenie aktywności fizycznej. Preparat Tyvaso miał być podawany drogą inhalacji, czyli pacjent miał wdychać lek bezpośrednio do płuc.

W dniu 14 kwietnia 2004 r. preparat Tyvaso został oznaczony jako sierocy produkt leczniczy (lek stosowany w rzadkich chorobach) w tętniczym nadciśnieniu płucnym.

Jakie jest oczekiwane działanie preparatu Tyvaso?

PAH to wyniszczająca choroba, w której dochodzi do znacznego stopnia zwężenia naczyń krwionośnych płuc. Powoduje to podwyższenie ciśnienia tętniczego w naczyniach prowadzących krew z serca do płuc. Ciśnienie zmniejsza ilość tlenu, która może dostać się do krwi, co utrudnia aktywność fizyczną.

Substancja czynna preparatu Tyvaso, treprostynil sodowy, jest analogiem występującej naturalnie substancji - prostacykliny, która powoduje rozszerzenie naczyń krwionośnych. Po zainhalowaniu treprostynil sodowy ma doprowadzać do rozszerzenia naczyń krwionośnych w płucach, co mogłoby obniżyć nieprawidłowo podwyższone ciśnienie krwi w tętnicach płucnych.

Jaka dokumentacja została przedstawiona przez firmę na poparcie wniosku?

Ponieważ leki zawierające treprostynil są dostępne w Europie od 2005 r., firma wykorzystała niektóre z tych danych na poparcie wniosku dotyczącego preparatu Tyvaso. Firma przedstawiła wyniki jednego badania głównego z udziałem 235 pacjentów z PAH leczonych również za pomocą antagonisty receptora endoteliny albo inhibitora fosfodiesterazy typu 5. Jako leczenie uzupełniające pacjenci otrzymywali preparat Tyvaso albo placebo (leczenie obojętne). Główną miarą skuteczności była zmiana długości dystansu pokonywanego przez pacjentów w czasie sześciu minut po 12 tygodniach leczenia.

Na jakim etapie znajdowała się ocena w momencie wycofania wniosku?

Wniosek został wycofany w 181. dniu procedury. Oznacza to, że CHMP ocenił dokumentację przedstawioną przez firmę i sformułował listę pytań. Po dokonaniu przez CHMP oceny odpowiedzi firmy na ostatnią listę pytań pewne kwestie wciąż pozostawały nierozwiązane.

Jakie zalecenie wydał wówczas CHMP?

W momencie wycofania CHMP zgłosił zastrzeżenia na podstawie przeglądu danych i odpowiedzi firmy na pytania CHMP. Główne zastrzeżenie dotyczyło dwóch ośrodków, w których prowadzono badanie główne i kontrole których wykazały, że badanie nie było prowadzone zgodnie z zasadami dobrej praktyki klinicznej. Wyników tego badania nie uznano za wiarygodne i CHMP uznał, że na podstawie danych przedstawionych przez firmę nie można zatwierdzić przedmiotowego leku.

Jakie przyczyny wycofania wniosku podała firma?

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

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

Firma poinformowała CHMP, że w momencie wycofania prowadzono jedno badanie kliniczne w Europie oraz że preparat Tyvaso był dostarczany do jednego specjalistycznego ośrodka w Niemczech w ramach programu współczucia. Leczenie tych pacjentów będzie prowadzone do czasu uzyskania alternatywnych metod leczenia.

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