



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

10 listopada 2017 r.
EMA/736863/2017
EMA/H/C/003874

Pytania i odpowiedzi

Odmowa przyznania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu produktu Onzeald (etirinotekan pegol)

Wynik ponownej oceny

W dniu 20 lipca 2017 r. Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) wydał negatywną opinię, zalecając odmowę przyznania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu produktu leczniczego Onzeald, przeznaczonego do stosowania w leczeniu zaawansowanego raka piersi z przerzutami do mózgu. Firmą ubiegającą się o przyznanie pozwolenia na dopuszczenie do obrotu jest Nektar Therapeutics UK Limited.

Firma zwróciła się o ponowne rozpatrzenie wstępnej opinii. Po rozważeniu podstaw tego wniosku CHMP ponownie rozpatrzył opinię i w dniu 9 listopada 2017 r. potwierdził odmowę przyznania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu.

Co to jest Onzeald?

Onzeald jest lekiem przeciwnowotworowym zawierającym substancję czynną etirinotekan pegol. Lek miał być dostępny w postaci proszku do sporządzania roztworu do infuzji (wlewu dożylnego).

W jakim celu miał być stosowany produkt Onzeald?

Onzeald miał być stosowany w leczeniu osób dorosłych z zaawansowanym rakiem piersi, u których rozprzestrzenił się do mózgu i innych części ciała, i które otrzymywały już inne leczenie.

Jak działa produkt Onzeald?

Substancja czynna w leku Onzeald, etirinotekan pegol, składa się z irinotekanu (leku przeciwnowotworowego należącego do grupy „inhibitorów topoizomerazy”), który został „pegylowany” (przyłączony do związku chemicznego o nazwie glikol polietylenowy). Irinotekan blokuje aktywność topoizomerazy I, enzymu uczestniczącego w procesie replikacji DNA komórkowego, niezbędnego do



powstania nowych komórek. Zablokowanie aktywności enzymu zapobiega namnażaniu komórek nowotworowych, które ostatecznie obumierają.

Od wielu lat irinotekan jest dopuszczony do obrotu w UE z przeznaczeniem do stosowania w leczeniu raka okrężnicy i odbytnicy. Ponieważ w substancji etirinotekan pegol związek ten jest pegylowany, tempo usuwania leku z organizmu jest spowolnione, co umożliwia zmniejszenie częstości podawania leku.

Jaką dokumentację przedstawiła firma na poparcie wniosku?

Firma przedstawiła wyniki jednego badania głównego prowadzonego z udziałem 852 pacjentów z rakiem piersi i przerzutami do innych części ciała, którzy byli leczeni co najmniej 2 innymi lekami przeciwnowotworowymi. W tym badaniu Onzeald porównywano ze standardowymi lekami przeciwnowotworowymi wybranymi przez lekarza prowadzącego, a głównym kryterium oceny skuteczności był całkowity czas przeżycia pacjenta.

Jakie były główne wątpliwości CHMP, które doprowadziły do odmowy?

CHMP uznał, że nie wykazano w sposób wystarczający korzyści związanych ze stosowaniem produktu Onzeald w leczeniu zaawansowanego raka piersi, który rozprzestrzenił się do mózgu i innych części ciała. Twierdzenie o skuteczności oparto na danych zebranych w podgrupie pacjentów z badania głównego, u których generalnie nie udało się w sposób przekonujący wykazać skuteczności produktu Onzeald. Komitet uznał, że dane uzyskane w tej podgrupie, których nie poparto dodatkowymi badaniami, nie wystarczają do udowodnienia skuteczności produktu Onzeald, nawet po przeprowadzeniu analizy innymi metodami.

Dlatego według CHMP nie wykazano, by badanie dostarczyło wystarczającej ilości dowodów na korzyści wynikające ze stosowania produktu Onzeald, i Komitet zalecił odmowę przyznania pozwolenia na dopuszczenie go do obrotu. Odmowa CHMP została potwierdzona po ponownym rozpatrzeniu.

Jakie są skutki tej odmowy dla pacjentów uczestniczących w badaniach klinicznych?

Firma powiadomiła CHMP, że pacjenci otrzymujący ten lek w ramach badań klinicznych będą go otrzymywać nadal zgodnie z planem.

W przypadku uczestnictwa w badaniach klinicznych i potrzeby uzyskania dokładniejszych informacji o leczeniu należy skontaktować się z lekarzem prowadzącym.