



**ÎNTREBĂRI ȘI RĂPUNSURI PRIVIND RETRAGEREA CERERII DE MODIFICARE A
AUTORIZAȚIEI DE INTRODUCERE PE PIAȚĂ
pentru
NUTROPINAQ**

Denumire comună internațională (DCI): *somatropină*

La 24 ianuarie 2008, Ipsen Ltd. a înștiințat oficial Comitetul pentru produse medicamentoase de uz uman (CHMP) despre intenția de a-și retrage cererea privind o indicație nouă pentru NutropinAq, pentru tratamentul pe termen lung al copiilor cu nanism idiopatic sever.

Ce este NutropinAq?

NutropinAq este o soluție injectabilă disponibilă într-un cartuș, care conține substanța activă somatropină. Medicamentul este administrat prin injecție subcutanată, cu ajutorul stiloului injector proiectat special pentru acest cartuș.

NutropinAq se utilizează deja pentru tratarea copiilor care se află în următoarele situații:

- când se opresc din creștere din cauza unui deficit al hormonului de creștere;
- în cazul în care sunt mici de înălțime din cauza sindromului Turner (o afecțiune genetică rară care afectează fetele). Această situație trebuie confirmată prin analiza cromozomilor (test ADN);
- înainte de pubertate, când se opresc din creștere din cauza unei boli renale de lungă durată (insuficiență renală cronică). NutropinAq se utilizează până în momentul în care copilul primește un transplant de rinichi.

NutropinAq se utilizează, de asemenea, pentru tratarea adulților cu deficiență de hormon de creștere, ca terapie de substituție. Deficiența poate să fi început la maturitate sau în copilărie și trebuie confirmată prin teste înainte de începerea tratamentului.

Pentru ce ar fi trebuit să se utilizeze NutropinAq?

Conform noii indicații, NutropinAq ar fi trebuit să se utilizeze pentru tratarea copiilor cu „nanism idiopatic sever” (deficiență severă de creștere fără cauză identificabilă). Medicamentul urma să se utilizeze ca tratament pe termen lung la copiii pentru care s-au făcut previziuni că vor fi mici de înălțime, în comparație cu înălțimea părinților lor, după ce aceștia au ajuns la maturitate. Ar fi trebuit să se utilizeze dacă ar fi fost excluse toate cauzele posibile ale înălțimii mici a copiilor, precum nivelul scăzut al hormonilor de creștere.

Cum acționează NutropinAq?

Hormonul de creștere este o substanță secretată de o glandă localizată la baza creierului, denumită glanda pituitară. Aceasta asigură creșterea în timpul copilăriei și adolescenței și acționează, de asemenea, asupra modului în care organismul prelucrează proteinele, grăsimile și carbohidrații. Ingredientul activ din NutropinAq, somatropina, este identic cu hormonul uman de creștere. Acesta este obținut prin metoda cunoscută sub denumirea de „tehnologia ADN-ului recombinant”: hormonul este obținut dintr-o bacterie care a primit o genă (ADN), devenind astfel capabilă de producerea hormonului uman de creștere.

Ce documentație a prezentat societatea în sprijinul cererii sale adresate CHMP?

Societatea a prezentat rezultatele unui studiu principal care a examinat eficacitatea NutropinAq la 118 copii mici de statură care nu prezentau deficit al hormonului de creștere sau altă afecțiune

identificabilă care ar fi putut cauza tulburarea lor de creștere. În cursul primului an, studiul a comparat eficacitatea NutropinAq administrat de trei ori pe săptămână cu cea a lipsei de tratament. După aceea, modelul studiului a fost modificat, astfel încât pacienții au primit NutropinAq fie de trei ori pe săptămână, fie o dată pe zi. Principala unitate de măsură a eficacității a fost creșterea înălțimii la vârstă adultă. Aceasta s-a bazat pe diferența dintre înălțimea estimată care va fi atinsă de fiecare copil, pe baza înălțimii acestuia și maturității oaselor înainte de a începe să i se administreze NutropinAq, și înălțimea sa reală când a ajuns la maturitate. În total, copiii au primit medicamentul pe o perioadă de până la zece ani.

În ce stadiu se afla evaluarea în momentul retragerii cererii?

Evaluarea se încheiase, iar CHMP formulase un aviz negativ. Societatea solicitase o reexaminare a avizului negativ, dar aceasta nu se finalizase încă în momentul când societatea s-a retras.

Care a fost recomandarea CHMP în momentul respectiv?

Pe baza analizării informațiilor și a răspunsului societății la lista de întrebări a CHMP, în momentul retragerii cererii, CHMP a formulat un aviz negativ și nu a recomandat acordarea autorizației de introducere pe piață pentru NutropinAq pentru tratamentul pe termen lung al copiilor cu nanism idiopatic sever.

Care au fost principalele motive de îngrijorare ale CHMP?

CHMP avea un motiv de îngrijorare cu privire la faptul că fusese demonstrat doar un beneficiu modest al NutropinAq în tratamentul nanismului idiopatic sever, cu un câștig mediu la înălțimea finală a adultului de aproximativ 6-7 cm în cadrul studiului principal. În plus, nu fusese demonstrat un beneficiu al medicamentului în ceea ce privește îmbunătățirea confortului psihologic sau social al copilului. Comitetul și-a exprimat îngrijorarea că utilizarea NutropinAq pe perioadele de timp lungi necesare pentru tratarea nanismului idiopatic sever ar putea crește riscul dezvoltării unor tumori sau apariției diabetului, ulterior pe parcursul vieții.

Prin urmare, în momentul retragerii cererii, în opinia CHMP, beneficiile NutropinAq nu erau mai mari decât riscurile sale posibile pentru tratamentul pe termen lung al copiilor cu nanism idiopatic sever.

Care au fost motivele invocate de societate pentru retragerea cererii?

Scrisoarea prin care societatea înștiințează EMEA cu privire la retragerea cererii este disponibilă [aici](#).

Care sunt consecințele retragerii cererii pentru pacienții incluși în studii clinice sau programe de uz compasional care utilizează NutropinAq?

Societatea a informat CHMP că nu există studii clinice sau programe de uz compasional în derulare în Europa care utilizează NutropinAq cu această indicație.

Ce se întâmplă cu tratamentul cu NutropinAq pentru oprirea din creștere datorată deficienței hormonului de creștere, sindromului Turner sau insuficienței renale cronice?

Nu există nicio consecință privind administrarea NutropinAq pentru indicațiile autorizate, pentru care raportul beneficiu-risc rămâne neschimbat.