



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

13 noiembrie 2020
EMA/594092/2020
EMA/H/C/005123

Retragerea cererii de autorizare de punere pe piață pentru Puldysa (idebenonă)

Santhera Pharmaceuticals (Deutschland) GmbH și-a retras cererea de autorizare de punere pe piață pentru Puldysa pentru tratamentul distrofiei musculare Duchenne.

Compania și-a retras cererea la 28 octombrie 2020.

Ce este Puldysa și pentru ce ar fi trebuit să se utilizeze?

Puldysa a fost dezvoltat ca medicament pentru tratamentul agravării respirației la pacienții cu distrofie musculară Duchenne care nu iau corticosteroizi.

Medicamentul conține substanța activă idebenonă și urma să fie disponibil sub formă de comprimate filmate cu administrare orală.

A fost dezvoltat ca „medicament hibrid”. Aceasta înseamnă că urma să fie similar cu un „medicament de referință” care conține aceeași substanță activă și care este deja autorizat în Uniunea Europeană. Medicamentul de referință este Mnesis, autorizat în Italia pentru tratamentul glaucomului.

Puldysa a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament folosit în bolile rare) la data de 20 martie 2007 pentru distrofia musculară Duchenne. Informații suplimentare privind desemnarea ca medicament orfan sunt disponibile [aici](#).

Cum acționează Puldysa?

Substanța activă din Puldysa, idebenona, este un antioxidant care acționează asupra mitocondriilor (structurile din interiorul celulelor care produc energia necesară funcționării celulelor). La pacienții cu distrofie musculară Duchenne, mitocondriile nu funcționează normal și produc forme toxice de oxigen, care afectează celulele musculare. Se consideră că idebenona ajută la îmbunătățirea producției de energie prin restabilirea funcției mitocondriale, împiedicând astfel deteriorarea celulelor și pierderea funcției musculare, precum cea a mușchilor respiratori.

De asemenea, idebenona este autorizată în UE pentru tratamentul deficitelor cognitive și comportamentale, al ataxiei Friedreich și al neuropatiei optice ereditare Leber.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Ce documentație a prezentat compania în sprijinul cererii sale?

Compania a furnizat rezultatele a trei studii principale care au cuprins pacienți cu distrofie musculară Duchenne care nu erau tratați cu corticosteroizi. În două studii, Puldysa a fost comparat cu placebo (un preparat inactiv), iar eficacitatea a fost măsurată prin îmbunătățirea funcției pulmonare sau modificarea PEF (debitul expirator maxim, un indicator al funcției respiratorii) după un an de tratament. În al treilea studiu, pacienții tratați cu Puldysa au fost urmăriți mai mult timp pentru a vedea dacă se mențin efectele asupra respirației.

În ce stadiu se afla evaluarea în momentul retragerii cererii?

Cererea a fost retrasă după ce Agenția Europeană pentru Medicamente evaluase informațiile prezentate de companie și formulase întrebări pentru aceasta. După evaluarea de către agenție a răspunsurilor companiei la ultima rundă de întrebări, existau încă unele probleme nerezolvate.

Care a fost recomandarea agenției în momentul respectiv?

Pe baza analizării datelor și a răspunsului companiei la întrebările agenției, în momentul retragerii cererii, agenția avea unele motive de îngrijorare și a dat un aviz provizoriu potrivit căruia Puldysa nu putea fi autorizat pentru tratamentul agravării funcției respiratorii la pacienții cu distrofie musculară Duchenne care nu iau corticosteroizi.

Agenția a considerat că efectele benefice asupra funcției pulmonare nu au fost consecvente în studii și nu era clar dacă se puteau menține pe termen lung.

Prin urmare, la momentul retragerii cererii, în opinia agenției, beneficiile Puldysa nu depășeau riscurile asociate.

Care au fost motivele invocate de companie pentru retragerea cererii?

În [scrisoarea](#) prin care înștiințează agenția cu privire la retragerea cererii, compania a declarat că își retrage cererea după ce un studiu principal în desfășurare, care urma să furnizeze dovezi suplimentare pentru Puldysa în cazul distrofiei musculare Duchenne, a fost oprit deoarece nu și-a putut atinge obiectivele.

Retragerea acestei cereri afectează pacienții din studii clinice sau din programe de uz compasional?

Compania a informat agenția că sunt întrerupte toate studiile clinice și programele de uz compasional pentru Puldysa în cazul distrofiei musculare Duchenne. Medicii din studiile clinice vor contacta pacienții pentru a organiza ultimele vizite de urmărire.

Dacă participați la un studiu clinic sau la un program de uz compasional și aveți nevoie de informații suplimentare, adresați-vă medicului din studiul respectiv.