



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

20 ianuarie 2011
EMA/13310/2011
EMA/H/C/001244

Întrebări și răspunsuri

Retragerea cererii de introducere pe piață pentru Tekinex (omacetaxină mepesuccinat)

La 11 ianuarie 2011, ChemGenex Europe SAS a notificat oficial Comitetul pentru produse medicamentoase de uz uman (CHMP) că dorește să își retragă cererea de introducere pe piață pentru Tekinex, destinat utilizării în tratamentul pacienților cu leucemie mieloidă cronică cu cromozom Philadelphia pozitiv care prezintă o mutație a „domeniului kinazic Bcr-Abl T315I” și la care tratamentul prealabil cu imatinib a eșuat.

Ce este Tekinex?

Tekinex este un medicament care conține substanța activă omacetaxină mepesuccinat. Acesta urma să fie disponibil sub formă de pulbere care se reconstituie într-o soluție injectabilă.

Pentru ce ar fi trebuit să se utilizeze Tekinex?

Tekinex ar fi trebuit să se utilizeze pentru tratamentul adulților cu leucemie mieloidă cronică (LMC) cu „cromozom Philadelphia pozitiv” (Ph+) (un cancer al unui tip de globule albe numite granulocite). Ph+ înseamnă că unele din genele pacientului s-au rearanjat pentru a forma un cromozom special, numit cromozom Philadelphia, care produce o enzimă, kinaza Bcr-Abl, ce cauzează apariția leucemiei.

Medicamentul urma să fie utilizat la pacienți la care tratamentul prealabil cu imatinib (alt medicament împotriva cancerului) a eșuat, posibil din cauza unei mutații a genei pentru kinaza Bcr-Abl numită „mutație T315I”.

Deoarece numărul de pacienți cu LMC este scăzut, boala este considerată „rară”, iar Tekinex a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament folosit în bolile rare) la 2 septembrie 2004.



Cum ar trebui să acționeze Tekinex?

Substanța activă din Tekinex, omacetaxina, este un inhibitor al sintezei proteinelor. Aceasta este derivată din harringtonină, o substanță extrasă dintr-o plantă veșnic verde din China. Mecanismul său de acțiune este neclar, dar se consideră că perturbă producția enzimei tirozin-kinază Bcr-Abl.

Alte medicamente cunoscute drept inhibitori ai tirozin-kinazei, inclusiv imatinibul, acționează în LMC legându-se direct de enzima tirozin-kinază Bcr-Abl. Mutația T315I modifică anumite proprietăți ale enzimei, ceea ce face mai dificilă legarea medicamentelor respective de aceasta. Întrucât omacetaxina nu acționează în acest mod, acțiunea sa nu este afectată de mutația T315I. Prin urmare, Tekinex ar fi trebuit să aibă efecte la pacienții cu Ph+ cu mutație T315I.

Ce a prezentat societatea în sprijinul cererii sale?

Efectele Tekinex au fost testate pe modele experimentale înainte de a fi studiate la om. Societatea a prezentat rezultate dintr-un studiu principal la care au participat 66 de pacienți cu LMC cu cromozom Philadelphia pozitiv și mutație T315I, la care tratamentul prealabil cu imatinib eșuase. Tekinex nu a fost comparat direct cu niciun alt tratament. Studiul a investigat modul în care pacienții au răspuns la tratament pe baza rezultatelor analizelor de sânge efectuate pentru a măsura cât de activ este cancerul.

În ce stadiu de evaluare se afla cererea în momentul retragerii acesteia?

Cererea a fost retrasă în „ziua 120”. Aceasta înseamnă că CHMP evaluase documentația inițială prezentată de societate și formulase o listă de întrebări. În momentul retragerii, societatea nu răspunsese încă la întrebări.

Care a fost recomandarea CHMP la momentul respectiv?

Pe baza analizării datelor, în momentul retragerii cererii, CHMP avea unele motive de îngrijorare și a emis un aviz provizoriu potrivit căruia Tekinex nu ar fi putut fi aprobat.

CHMP a considerat că beneficiile medicamentului sunt incerte. De asemenea, a existat o urmărire insuficientă a pacienților după tratament și comitetul avea îndoieli legate de faptul că medicamentul este suficient de sigur pentru a fi autoadministrat de pacienți, așa cum prevedea societatea. CHMP avea, de asemenea, unele motive de îngrijorare legate de dozele utilizate în studiu și de criteriile aplicate pentru măsurarea eficacității medicamentului. La final, în urma unei inspecții efectuate la centrele de studiu, comitetul a observat că există unele neconcordanțe în aplicare care ar fi putut afecta fiabilitatea rezultatelor studiului.

Prin urmare, în momentul retragerii cererii, CHMP era de părere că beneficiile Tekinex nu sunt mai mari decât riscurile asociate acestuia.

Care au fost motivele invocate de societate pentru retragerea cererii?

Scrisoarea prin care societatea înștiințează agenția cu privire la retragerea cererii este disponibilă sub tab-ul „All documents” („Toate documentele”).

Care sunt consecințele retragerii cererii pentru pacienții implicați în studii clinice sau programe de uz umanitar?

Societatea a informat CHMP că studiile clinice în curs cu Tekinex vor continua.

Rezumatul avizului emis de Comitetul pentru produse medicamentoase orfane cu privire la Tekinex este disponibil pe site-ul agenției, [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designations](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designations).