



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

18 martie 2010
EMA/265144/2010
EMA/H/C/1115

Întrebări și răspunsuri

Retragerea cererii de introducere pe piață pentru Tyvaso (treprostinil de sodiu)

La 17 februarie 2010, United Therapeutics Europe Ltd a notificat oficial Comitetul pentru produse medicamentoase de uz uman (CHMP) că dorește să își retragă cererea de introducere pe piață pentru Tyvaso, destinat utilizării ca tratament „adjuvant” pentru pacienții cu hipertensiune arterială pulmonară.

Ce este Tyvaso?

Tyvaso este un medicament care conține substanța activă treprostinil de sodiu. Acesta urma să fie disponibil sub formă de soluție pentru nebulizator.

Pentru ce ar fi trebuit să se utilizeze Tyvaso?

Tyvaso ar fi trebuit să se utilizeze pentru tratamentul pacienților cu hipertensiune arterială pulmonară (HAP) pentru îmbunătățirea capacității de exercițiu fizic (capacitatea de a desfășura activități fizice). HAP este o tensiune arterială anormal de ridicată în arterele plămânilor.

Tyvaso ar fi trebuit să se utilizeze la pacienți cu HAP clasificată drept „clasa funcțională III conform New York Heart Association (Asociația de cardiologie din New York)”, care erau, de asemenea, tratați fie cu un „antagonist al receptorilor endotelinei”, fie cu un „inhibitor al fosfodiesterazei-5” (alte medicamente pentru HAP). Clasa reflectă gravitatea HAP: clasa III presupune o limitare pronunțată a activității fizice. Tyvaso ar fi trebuit să fie administrat prin inhalare, pacientul urmând să inhaleze medicamentul direct în plămâni.

Tyvaso a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament care se utilizează în bolile rare) la 14 aprilie 2004 pentru hipertensiune arterială pulmonară.



Cum ar trebui să acționeze Tyvaso?

HAP este o afecțiune incapacitantă în care se produce o îngustare severă a vaselor de sânge de la nivelul plămânilor. Aceasta cauzează tensiune arterială ridicată în vasele care transportă sângele de la inimă la plămâni. Această tensiune reduce cantitatea de oxigen care poate pătrunde în sânge, făcând activitatea fizică mai dificilă.

Substanța activă din Tyvaso, treprostinil de sodiu, este un analog al prostaciclinei, o moleculă produsă în mod natural care cauzează dilatarea vaselor de sânge. Când este inhalat, treprostinilul de sodiu ar trebui să determine dilatarea vaselor de sânge de la nivelul plămânilor, ceea ce ar putea reduce tensiunea arterială anormal de ridicată din arterele plămânilor.

Ce a prezentat societatea în sprijinul cererii sale?

Deoarece medicamentele care conțin treprostinil sunt disponibile în Europa din 2005, societatea a utilizat o parte din aceste date în sprijinul cererii sale pentru Tyvaso. Societatea a prezentat rezultatele unui studiu principal la care au participat 235 de pacienți cu HAP care au primit, de asemenea, fie un antagonist al receptorilor endotelinei, fie un inhibitor al fosfodiesterazei-5. Pacienților li s-a administrat ca adjuvant la tratamentul existent fie Tyvaso, fie placebo (un medicament inactiv). Principala măsură de eficacitate a fost modificarea distanței pe care o puteau parcurge pacienții în șase minute după 12 săptămâni de tratament.

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

Cererea a fost retrasă după „ziua 181”. Aceasta înseamnă că CHMP evaluase documentația prezentată de societate și formulase o listă de întrebări. După evaluarea de către CHMP a răspunsurilor societății la ultima rundă de întrebări, mai rămăseseră încă unele probleme nerezolvate.

Care a fost recomandarea CHMP la momentul respectiv?

Pe baza evaluării datelor și a răspunsului societății la listele de întrebări ale CHMP, în momentul retragerii, CHMP avea motive de îngrijorare. Principalul motiv de îngrijorare a fost reprezentat de faptul că inspecțiile celor două centre la care a fost derulat studiul au arătat că studiul nu fusese realizat în conformitate cu „bunele practici clinice” (BPC). În consecință, rezultatele studiului nu au fost considerate sigure, iar CHMP a concluzionat că medicamentul nu ar fi putut fi aprobat pe baza datelor prezentate de societate.

Care au fost motivele invocate de societate pentru retragerea cererii?

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

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

Societatea a informat CHMP că, în momentul retragerii, exista un singur studiu clinic în curs în Europa și că Tyvaso era, de asemenea, furnizat în regim de uz umanitar unui centru specializat din Germania. Tratamentul acestor pacienți va continua până se vor obține tratamente alternative.

Rezumatul avizului emis de Comitetul pentru produse medicamentoase orfane cu privire la Tyvaso este disponibil [aici](#).