



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

13. november 2020
EMA/594092/2020
EMA/H/C/005123

Stiahnutie žiadosti o povolenie na uvedenie na trh pre liek Puldysa (idebenón)

Spoločnosť Santhera Pharmaceuticals (Deutschland) GmbH stiahla svoju žiadosť o povolenie na uvedenie na trh pre liek Puldysa určený na liečbu Duchenneovej svalovej dystrofie.

Spoločnosť stiahla svoju žiadosť 28. októbra 2020.

Čo je liek Puldysa a na čo sa mal používať?

Liek Puldysa bol vyvinutý na liečbu zhoršujúceho sa dýchania u pacientov s Duchenneovou svalovou dystrofiou, ktorí nedostávajú kortikosteroidy.

Liek Puldysa obsahuje liečivo idebenón a mal byť k dispozícii ako filmom obalené tablety na užívanie cez ústa.

Bol vyvinutý ako tzv. hybridný liek. To znamená, že mal byť podobný referenčnému lieku obsahujúcemu rovnaké liečivo, ktorý je už v Európskej únii (EÚ) povolený. Referenčný liek je Mnesis, ktorý je povolený v Taliansku na liečbu glaukómu.

Liek Puldysa bol 20. marca 2007 označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia na liečbu Duchenneovej svalovej dystrofie. Ďalšie informácie o označení lieku za liek na ojedinelé ochorenia môžete nájsť [tu](#).

Akým spôsobom liek Puldysa účinkuje?

Liečivo lieku Puldysa, idebenón, je antioxidačné činidlo, ktoré pôsobí na mitochondrie (vnútrobunkové štruktúry, ktoré produkujú energiu potrebnú na funkcie bunky). U pacientov s Duchenneovou svalovou dystrofiou mitochondrie nefungujú správne a produkujú toxické formy kyslíka, ktoré poškadzujú svalové bunky. Predpokladá sa, že idebenón pomáha zlepšovať produkciu energie obnovou funkcie mitochondrií, čím predchádza poškodeniu buniek a strate svalovej funkcie, ako aj strate funkcie dýchacích svalov.

Idebenón je už povolený v EÚ na liečbu kognitívnych a behaviorálnych porúch, Friedreichovej ataxie a Leberovej hereditárnej optickej neuropatie.

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



Akou dokumentáciou podložila spoločnosť svoju žiadosť?

Spoločnosť predložila výsledky troch hlavných štúdií s pacientmi s Duchenneovou svalovou dystrofiou, ktorí neboli liečení kortikosteroidmi. V dvoch štúdiách sa liek Puldysa porovnával s placebom (zdanlivým liekom) a jeho účinnosť sa merala zlepšením činnosti pľúc alebo zmenou PEF (vrcholového respiračného prietoku, čo je ukazovateľ fungovania dýchania) po jednom roku liečby. V tretej štúdii sa u pacientov liečených liekom Puldysa dlhodobejšie sledovalo, či sa účinky na dýchanie udržali.

V akej fáze hodnotenia bola žiadosť v čase stiahnutia?

Žiadosť bola stiahnutá potom, ako Európska agentúra pre lieky vyhodnotila dokumentáciu, ktorú spoločnosť predložila a vypracovala zoznam otázok pre spoločnosť. Potom ako agentúra posúdila odpovede spoločnosti na poslednú sériu otázok, ešte stále zostali niektoré otázky nevyriešené.

Aké bolo v tom čase odporúčanie agentúry?

Na základe preskúmania údajov a odpovedí spoločnosti na zoznamy otázok agentúry mala agentúra v čase stiahnutia žiadosti určité výhrady a dospela k predbežnému stanovisku, že liek Puldysa nemôže byť povolený na liečbu zhoršenia dýchania u pacientov s Duchenneovou svalovou dystrofiou, ktorí nepoužívali kortikosteroidy.

Agentúra dospela k názoru, že priaznivý účinok na dýchanie nebol dostatočne preukázaný vo všetkých štúdiách a že nebolo jasné, či tento účinok možno dlhodobo udržať.

Agentúra preto v čase stiahnutia žiadosti zastávala názor, že prínosy lieku Puldysa neprevyšujú jeho riziká.

Aké dôvody na stiahnutie žiadosti uviedla spoločnosť?

Vo svojom [liste](#) oznamujúcom agentúre stiahnutie žiadosti spoločnosť uviedla, že žiadosť sťahuje potom, ako bola zastavená prebiehajúca hlavná štúdia, ktorá mala poskytnúť viac dôkazov o účinnosti lieku Puldysa pri Duchenneovej svalovej dystrofii, keďže sa v nej nepodarilo dosiahnuť vytýčené ciele.

Má stiahnutie žiadosti nejaké dôsledky pre pacientov, ktorí sa zúčastňujú na klinických skúšaniach alebo na programoch na použitie lieku v naliehavých prípadoch?

Spoločnosť informovala agentúru, že všetky klinické skúšania a programy na použitie lieku Puldysa v naliehavých prípadoch pri Duchenneovej svalovej dystrofii boli prerušené. Lekári zúčastnení na klinických skúšaniach sa skontaktujú s pacientmi, aby s nimi dohodli záverečné vyhodnotenie.

Ak ste však účastníkom klinického skúšania alebo programu na použitie lieku v naliehavých prípadoch a potrebujete viac informácií, obráťte sa na svojho lekára y klinického skúšania.