

Londýn 19. júla 2007
Značka EMA/382243/2007

**OTÁZKY A ODPOVEDE TÝKAJÚCE SA STIAHNUTIA ŽIADOSTI O POVOLENIE NA
UVEDENIE NA TRH
pre
CEREPRO**

Účinná látka: **gén tymidínkinázy vírusu Herpes simplex sprostredkovaný adenovírusom**

Spoločnosť Ark Therapeutics 13. júla 2007 oficiálne oznámila Výboru pre lieky na humánne použitie (CHMP) rozhodnutie stiahnuť svoju žiadosť o povolenie na uvedenie lieku Cerepro na trh, určeného na liečbu pacientov s operovateľným gliómom vysokého stupňa. Liek Cerepro bol 6. februára 2002 označený za liek na ojedinelé ochorenia.

Čo je Cerepro?

Cerepro je liek obsahujúci gén (gén tymidínkinázy vírusu *Herpes simplex*), ktorého nosičom je adenovírus. Z lieku sa pripravuje roztok, ktorý sa počas operácie podáva injekčne priamo do mozgu.

Aké bolo predpokladané použitie lieku Cerepro?

Liek Cerepro sa mal používať v kombinácii so sodnou soľou gancikloviru na liečbu gliómu vysokého stupňa u pacientov, v prípade ktorých možno uskutočniť operáciu. Glióm je typ mozgového tumoru, ktorý vzniká v gliových bunkách (bunky, ktoré obklopujú a podporujú nervové bunky).

Liek Cerepro sa mal používať počas operácie. Po odstránení čo najväčšej časti mozgového tumoru mal chirurg podať až 70 malých injekcií lieku Cerepro do oblasti, kde sa pôvodne nachádzal tumor.

Po injekcii lieku Cerepro mala nasledovať dvojtyždňová liečba sodnou soľou gancikloviru, ktorá sa mala začať päť dní po operácii. Liek Cerepro by mal účinkovať len v kombinácii s ganciklovirom.

Akým spôsobom by mal liek Cerepro účinkovať?

Liek Cerepro obsahuje gén pre enzým tymidínkinázu z herpetického vírusu. Nosičom génu je vektor, typ vírusu, ktorý bol geneticky zmenený tak, aby mohol vnieť do buniek tela gén (DNA). Vírus v lieku Cerepro je adenovírus, ktorý bol vytvorený tak, aby nemohol vytvárať vlastné kópie, a preto v ľudskom tele nemôže spôsobovať infekcie.

Keď sa liek Cerepro injekčne podá do mozgu, modifikovaný vírus prijímajú bunky v okolí miest podania injekcie. Tieto bunky potom začnú vytvárať enzým tymidínkinázu. Tento enzým pomáha zmeniť ganciklovir na formu, ktorá môže zabíjať deliace sa bunky vrátane akýchkoľvek rakovinových buniek, ktoré neboli odstránené počas operácie.

Akou dokumentáciou podložila spoločnosť svoju žiadosť pred výborom CHMP?

Účinky lieku Cerepro sa najprv skúmali na pokusných modeloch a potom na ľuďoch.

Liek Cerepro sa tiež skúmal v prípade 36 pacientov s gliómom vysokého stupňa. Štúdia porovnávala účinky pridania lieku Cerepro a sodnej soli gancikloviru k štandardnej liečbe s účinkami štandardnej liečby samotnej. Hlavnou mierou účinnosti bola dĺžka prežitia pacientov po prvej operácii.

V akej fáze hodnotenia bola žiadosť v čase stiahnutia?

Hodnotenie bolo ukončené a výbor CHMP vydal negatívne stanovisko. Spoločnosť požiadala o nové posúdenie negatívneho stanoviska, ktoré však v čase stiahnutia žiadosti spoločnosťou ešte nebolo ukončené.

Aké bolo v tom čase odporúčanie výboru CHMP?

Na základe preskúmania údajov a odpovedí spoločnosti na zoznam otázok predložený výborom CHMP, vydal v čase stiahnutia žiadosti výbor negatívne stanovisko a neodporučil vydať povolenie na uvedenie lieku Cerepro na trh, určeného na liečbu pacientov s operovateľným gliómom vysokého stupňa.

Aké boli hlavné obavy výboru CHMP?

Výbor CHMP bol znepokojený tým, že prínos lieku Cerepro ešte nebol dokázaný. Výbor vyjadril znepokojenie v súvislosti s nízkym počtom pacientov zapojených do hlavnej štúdie skúmajúcej liek Cerepro, čo zabránilo preukázaniu prínosu lieku. Výbor bol tiež znepokojený spôsobmi vedenia štúdie, čo sťažilo interpretáciu výsledkov. Výbor CHMP navyše usúdil, že informácie o bezpečnosti lieku Cerepro nie sú dostatočné, a keďže prínos lieku sa nedokázal, jeho riziká pri použití v kombinácii s ganciklovírom by mohli vyvolať obavy.

Preto bol výbor CHMP v čase stiahnutia žiadosti toho názoru, že prínos lieku Cerepro nebol dostatočne preukázaný a že neprevyšoval jeho zistené riziká.

Aké dôvody na stiahnutie žiadosti uviedla spoločnosť?

List od spoločnosti oznamujúci agentúre EMEA stiahnutie žiadosti sa nachádza [tu](#).

Aké sú dôsledky stiahnutia žiadosti pre pacientov, ktorí sa zúčastňujú na klinických štúdiách lieku Cerepro?

Spoločnosť informovala výbor CHMP, že stiahnutie žiadosti nemá dôsledky pre pacientov, ktorí sa v súčasnosti zúčastňujú na klinických skúškach lieku Cerepro. Ak ste však účastníkom klinickej skúšky a potrebujete viac informácií o vašej liečbe, obráťte sa na vášho ošetrojúceho lekára.