

Londýn 26. júna 2008

Ref. dok. EMEA/391209/2008 Error! No property name supplied.

**OTÁZKY A ODPOVEDE TÝKAJÚCE SA STIAHNUTIA ŽIADOSTI O POVOLENIE
NA UVEDENIE NA TRH****pre
LENALIDOMIDE CELGENE EUROPE**Medzinárodný generický názov lieku (INN): **lenalidomide**

Dňa 30. mája 2008 spoločnosť Celgene Europe Limited oficiálne oznámila Výboru pre lieky na humánne použitie (CHMP) svoje rozhodnutie stiahnuť žiadosť o povolenie na uvedenie lieku Lenalidomide Celgene Europe na trh, ktorý je určený na liečbu anémie v dôsledku myelodysplastických syndrómov. Liek Lenalidomide Celgene Europe bol 8. marca 2004 označený za liek na ojedinelé ochorenia.

Čo je Lenalidomide Celgene Europe?

Lenalidomide Celgene Europe je liek obsahujúci účinnú látku lenalidomid. Lenalidomid je v Európskej únii schválený od júna 2007 pod názvom Revlimid na liečbu mnohonásobného myelómu. Mnohopočetný myelóm je rakovina plazmatických buniek kostnej drene.

Aké bolo predpokladané použitie lieku Lenalidomide Celgene Europe?

Liek Lenalidomide Celgene Europe sa mal používať na liečbu anémie (nízky počet červených krviniek) zapríčinennej myelodysplastickými syndrómami, tzn. viacerými stavmi, pri ktorých kostná dreň produkuje príliš málo krviniek. V niektorých prípadoch môžu myelodysplastické syndrómy viesť k vzniku akútnej myeloidnej leukémie (druhy rakoviny bielych krviniek). Liek Lenalidomide Celgene Europe sa používal u pacientov závislých od podávania krvných transfúzií na liečbu anémie a ktorých myelodysplastické syndrómy sa spájali so špecifickou genetickou mutáciou (vynechanie časti chromozómového čísla 5) a s nízkym až stredným rizikom progresie do leukémie alebo smrti.

Akým spôsobom by mal liek Lenalidomide Celgene Europe účinkovať?

Účinná látka lieku Lenalidomide Celgene Europe, lenalidomid, je imunomodulačná látka. To znamená, že ovplyvňuje aktivitu imunitného systému (prirodzená obrana tela). Presný spôsob, akým lenalidomid účinkuje v prípade myelodysplastických syndrómov, nie je známy. Predpokladá sa však, že blokuje rast rakovinových buniek v kostnej dreni, pričom umožňuje rast normálnych buniek kostnej drene vrátane buniek, ktoré produkujú červené krvinky.

Akou dokumentáciou podložila spoločnosť svoju žiadosť pred výborom CHMP?

Účinky lieku Lenalidomide Celgene Europe sa najprv skúmali na pokusných modeloch a potom na ľuďoch.

Jeho účinnosť bola pozorovaná v rámci jednej hlavnej štúdie, ktorá sa uskutočnila v niekoľkých nemocniciach a na klinikách v Spojených štátoch a Nemecku. Na štúdii sa zúčastnilo 148 pacientov s anémiou, ktorí sú závislí od transfúzie, s myelodysplastickými syndrómami s nízkym alebo stredným rizikom (úroveň 1) a vynechaním časti chromozómu 5 (vynechanie 5q). Štúdia sa zaoberala účinkami liečby s dennou dávkou 10 mg lieku Lenalidomide Celgene Europe podávanou kontinuálne alebo v opakovanom cykle. Tento cyklus pozostával z troch týždňov užívania lieku, po ktorých nasledoval jeden týždeň bez užívania lieku. Hlavnou mierou účinnosti bol pomer pacientov, ktorí sa zbavili závislosti od transfúzie, čo znamená, že ich anémia bola kontrolovaná bez toho, aby po ôsmich týždňoch bola potrebná transfúzia krvi.

V akej fáze hodnotenia bola žiadosť v čase stiahnutia?

Hodnotenie sa skončilo a výbor CHMP vyjadril negatívne stanovisko, ktoré bolo potvrdené na základe opätovného preskúmania. Spoločnosť stiahla svoju žiadosť pred tým, ako Európska komisia prijala formálne rozhodnutie.

Aké bolo v tom čase odporúčanie výboru CHMP?

Na základe preskúmania údajov a odpovedí spoločnosti na zoznam otázok CHMP prijal výbor CHMP v čase stiahnutia žiadosti negatívne stanovisko a neodporučil udeliť povolenie na uvedenie lieku Lenalidomide Celgene Europe na trh na liečbu anémie v dôsledku myelodysplastických syndrómov.

Aké boli hlavné výhrady výboru CHMP?

Výbor CHMP mal výhrady k spôsobu vykonania hlavnej štúdie, čo znamená, že bezpečnosť lieku Lenalidomide Celgene Europe sa dala ťažko vyhodnotiť. Keďže štúdiá neporovnávala tento liek s ďalšími liekmi, nedalo sa určiť, či liečba liekom Lenalidomide Celgene Europe zvýšila riziko progresie do akútnej myeloidnej leukémie. Okrem toho inšpekcia na jednej z kliník, kde sa uskutočnila hlavná štúdia, priniesla určité obavy týkajúce sa spôsobu, akým boli výsledky zaznamenané, čo mohlo následne ovplyvniť dôveryhodnosť hlavnej štúdie.

Z tohto dôvodu zastával výbor CHMP v čase stiahnutia žiadosti názor, že prínos lieku Lenalidomide Celgene Europe nebol dostatočne preukázaný a neprevážil identifikované riziká.

Aké dôvody na stiahnutie žiadosti uviedla spoločnosť?

List spoločnosti oznamujúci agentúre EMEA stiahnutie žiadosti sa nachádza tu..

Aké sú dôsledky stiahnutia žiadosti pre pacientov, ktorí sa zúčastňujú na klinických skúškach lieku Lenalidomide Celgene Europe alebo na programoch na použitie lieku v naliehavých prípadoch?

Spoločnosť informovala výbor CHMP o tom, že bude naďalej sprístupňovať lenalidomid pacientom, ktorí sa zúčastňujú na klinických skúškach alebo programoch na použitie lieku v naliehavých prípadoch. Ak ste účastníkom klinickej štúdie alebo programu na použitie lieku v naliehavých prípadoch a potrebujete viac informácií o svojej liečbe, obráťte sa na svojho ošetrojúceho lekára.

Čo sa stane s liekom Revlimid používaným na liečbu mnohopočetného myelómu?

Na používanie lieku Revlimid, ktorý tiež obsahuje lenalidomid, pri jeho schválenej indikácii nevplyvajú žiadne dôsledky. Pomer prínosu a rizika lieku Revlimid sa nezmenil.