

Londýn 30. mája 2008
Dok. č. EMEA/304453/2008

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

Medzinárodný generický názov lieku (INN): **beklometazón dipropionát**

Dňa 22. mája 2008 spoločnosť DOR BIOPHARMA UK Ltd oficiálne oznámila Výboru pre lieky na humánne použitie (CHMP) rozhodnutie stiahnuť svoju žiadosť o povolenie na uvedenie lieku orBec určeného na liečbu gastrointestinálnej choroby reakcie štetu proti hostiteľovi („graft-versus-host“) na trh. Liek orBec bol dňa 13. marca 2002 označený za liek na ojedinelé ochorenia.

Čo je liek orBec?

orBec je liek obsahujúci účinnú látku beklometazón dipropionát. Mal byť dostupný vo forme dvoch osobitných tabliet, ktoré sa mali užiť spoločne: jedna tableta s okamžitým uvoľňovaním (okamžité uvoľňovanie znamená, že tableta bola vyrobená tak, aby umožňovala okamžité uvoľňovanie účinnej látky) a jedna gastrozistentná tableta (gastrozistentná znamená, že obsah tablety prechádza cez žalúdok bez štiepenia, až kým sa nedostane do čreva).

Aké bolo predpokladané použitie lieku orBec?

Predpokladalo sa, že orBec sa bude používať na liečbu gastrointestinálnej choroby reakcie štetu proti hostiteľovi. Choroba reakcie štetu proti hostiteľovi sa môže u pacientov vyskytnúť po transplantácii tkanív alebo orgánov, keď bunky transplantovaného tkaniva alebo orgánu považujú organizmus pacienta za „cudzí“ a atakujú ho. Pacienti s gastrointestinálnou chorobou reakcie štetu proti hostiteľovi majú poškodenie žalúdka a čreva, čo spôsobuje závažný zápal týchto orgánov.

Akým spôsobom by mal liek orBec účinkovať?

Účinná látka v lieku orBec, beklometazón dipropionát, je kortikosteroid, ktorý bol používaný ako inhalovaný, nosový a kožný liek od sedemdesiatych rokov 20. storočia. Pôsobí potláčaním aktivity imunitného systému (prirodzenej obrany tela) tak, že sa pripája na receptory rôznych typov imunitnej bunky. V lieku orBec sa beklometazón dipropionát mal užívať perorálne tak, aby pôsobil v žalúdku a v čreve. Predpokladalo sa, že blokuje receptory v žalúdku a v čreve, pričom redukuje lokálne produkciu látok, ktoré sú zapojené v rozpoznávaní cudzích buniek a v zápalovom procese. Toto malo podľa predpokladov viesť k zníženiu poškodenia žalúdka a čreva.

Akou dokumentáciou podložila spoločnosť svoju žiadosť pred výborom CHMP?

Žiadateľ predložil údaje o pokusných modeloch pre beklometazón dipropionát z odbornej literatúry. Účinnosť lieku orBec bola skúmaná v jednej hlavnej štúdii, v ktorej bol orBec porovnávaný s placebom (zdanlivý liek) u 129 pacientov s gastrointestinálnou chorobou reakcie štetu proti hostiteľovi. Hlavným meradlom účinnosti bolo to, za akú dlhú dobu liečba zlyhala počas 50 dní liečby.

V akej fáze hodnotenia bola žiadosť v čase stiahnutia?

Spoločnosť stiahla žiadosť na 180. deň od jej podania. Potom, ako výbor CHMP vyhodnotil odpovede spoločnosti na zoznam otázok, niektoré otázky ostali ešte nevyriešené.

Výbor CHMP má za normálnych okolností lehotu 210 dní na posúdenie novej žiadosti. Na základe preskúmania pôvodnej dokumentácie výbor CHMP pripraví zoznam otázok (120. deň), ktorý sa pošle spoločnosti. Keď spoločnosť predloží odpovede na položené otázky, výbor CHMP ich preskúma a pred vydaním stanoviska položí spoločnosti prípadne ďalšie otázky (180. deň). Po vydaní stanoviska výboru CHMP trvá zvyčajne 2 mesiace, kým Európska komisia vydá povolenie.

Aké bolo v tom čase odporúčanie výboru CHMP?

Na základe preskúmania údajov a odpovedí spoločnosti na zoznam otázok mal výbor CHMP v čase stiahnutia žiadosti určité výhrady a jeho predbežné stanovisko bolo, že orBec nemôže byť schválený na liečbu gastrointestinálnej choroby reakcie štetu proti hostiteľovi.

Aké boli hlavné výhrady výboru CHMP?

Výbor CHMP bol znepokojený tým, že jediná hlavná štúdia nepreukázala účinnosť lieku orBec. OrBec nebol pri predĺžení času, kedy sa ochorenie vrátilo späť počas intervalu liečby 50 dní, podstatne lepší ako placebo. Výbor CHMP mal tiež výhrady, že väčšina pacientov, ktorí sa štúdie zúčastnili, pochádzala z jedného centra štúdie, a preto výsledky neboli reprezentatívne pre celú populáciu. Okrem toho, ako výbor poznamenal, na preukázanie toho, ako účinná látka v lieku orBec pôsobí v žalúdku a v čreve pri liečbe gastrointestinálnej choroby reakcie štetu proti hostiteľovi, nebol dostatok údajov. Z tohto dôvodu zastával výbor CHMP v čase stiahnutia žiadosti názor, že prínos lieku orBec nebol dostatočne preukázaný a nebol väčší ako jeho zistené 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 klinických štúdií alebo programov na použitie lieku v naliehavých prípadoch?

Spoločnosť informovala výbor CHMP, že pre pacientov, ktorí sú v súčasnosti zapojení do klinických skúšok skúmajúcich orBec alebo do programov na použitie lieku v naliehavých prípadoch, nevyplývajú žiadne dôsledky.

Ak ste účastníkom klinickej štúdie alebo programu na použitie lieku v naliehavých prípadoch a potrebujete viac informácií o svojej liečbe, obráťte sa na vášho ošetrojúceho lekára.