

V Londýne 20. augusta 2009
Dok. č.: EMEA/702708/2009
EMA/H/C/1069

**Otázky a odpovede týkajúce sa stiahnutia žiadosti o povolenie na uvedenie na trh
pre liek
Bosatria
*mepolizumab***

Dňa 28. júla 2009 spoločnosť Glaxo Group Limited oficiálne oznámila Výboru pre lieky na humánne použitie (CHMP) rozhodnutie stiahnuť svoju žiadosť o povolenie na uvedenie na trh pre liek Bosatria na liečbu dospelých s hypereozinofilným syndrómom s cieľom znížiť alebo odstrániť potrebu kortikosteroidnej liečby a znížiť množstvo eozinofilov v krvi.

Čo je liek Bosatria?

Liek Bosatria je prášok, z ktorého sa pripravuje infúzny roztok (kvapka do žily). Liek obsahuje účinnú látku mepolizumab.

Aké bolo predpokladané použitie lieku Bosatria?

Liek Bosatria sa mal používať na liečbu dospelých s hypereozinofilným syndrómom. Ide o ochorenie, pri ktorom eozinofily (typ bielych krviniek) začínajú nekontrolovane rásť, hromadia sa v tkanivách mnohých orgánov a môžu zapríčiniť poškodenie orgánov, ako je srdce, pečeň a pľúca. Liek Bosatria sa mal používať v prípade pacientov, ktorým chýba gén, ktorý sa nazýva gén fúzie FIP1L1-PDGRF, s cieľom znížiť alebo odstrániť potrebu liečiť pacientov kortikosteroidmi (steroidy, ktoré sa používajú na liečbu tohto ochorenia) a znížiť hladiny eozinofilov v krvi.

Liek Bosatria bol 29. júla 2004 označený za liek na ojedinelé ochorenia (liek, ktorý sa používa pri zriedkavých ochoreniach) na liečbu hypereozinofilného syndrómu.

Akým spôsobom by mal liek Bosatria účinkovať?

Účinná látka lieku Bosatria, mepolizumab, je monoklonálna protilátka. Monoklonálna protilátka je protilátka (typ proteínu) vytvorená tak, aby dokázala rozoznať špecifickú štruktúru (nazývanú antigén), ktorá sa nachádza v tele, a naviazať sa na ňu. Mepolizumab je vytvorený tak, aby sa naviazal na chemický mesendžer s názvom interleukín 5 (IL-5), ktorý sa podieľa na raste eozinofilov. Naviazaním sa na IL-5 mal mepolizumab znížiť hromadenie eozinofilov v krvi, a tak zmierniť symptómy pacientov s hypereozinofilným syndrómom.

Akou dokumentáciou podložila spoločnosť svoju žiadosť pred výborom CHMP?

Účinok lieku Bosatria sa najprv skúmal na pokusných modeloch a potom na ľuďoch. V jednej hlavnej štúdii zahŕňajúcej 85 dospelých s hypereozinofilným syndrómom sa liek Bosatria porovnával s placebom (zdanlivý liek). Všetkým pacientom chýbal gén fúzie FIP1L1-PDGRF a liečili sa liekom prednison (kortikosteroid), ktorý pomohol stabilizovať ich symptómy. Pacienti počas štúdie dostávali buď liek Bosatria alebo placebo a súčasne sa znižovalo množstvo prednisonu, ktorý dostávali. Hlavnou mierou účinnosti bol počet pacientov, ktorým bolo možné znížiť dennú dávku prednisonu na 10 mg alebo menej počas obdobia ôsmich týždňov.

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 ešte ostali 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 prípadné 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 liek Bosatria nemôže byť schválený na liečbu dospelých s hypereozinofilným syndrómom, ktorým chýba gén fúzie FIP1L1-PDGRF, aby sa znížila alebo odstránila potreba kortikosteroidnej liečby a aby sa znížil počet eozinofilov v krvi.

Aké boli hlavné výhrady výboru CHMP?

Výbor CHMP zastával názor, že hlavná štúdia neposkytla dostatočný dôkaz, ktorý by preukázal účinnosť lieku Bosatria pri znižovaní potreby kortikosteroidnej liečby. Výbor CHMP mal tiež výhrady, že metóda, ktorú spoločnosť použila na kvantifikáciu rôznych foriem účinnej látky v lieku, nie je vhodná. Výbor CHMP bol preto v čase stiahnutia žiadosti toho názoru, že prínos lieku Bosatria nie je väčší ako riziká spojené s jeho používaním pri liečbe dospelých s hypereozinofilným syndrómom, ktorým chýba gén fúzie FIP1L1-PDGRF, aby sa znížila alebo odstránila potreba kortikosteroidnej liečby a aby sa znížil počet eozinofilov v krvi.

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 Bosatria alebo programoch na použitie lieku Bosatria v naliehavých situáciách?

Spoločnosť informovala výbor CHMP, že liek Bosatria bude naďalej dostupný pre pacientov zapojených do otvorenej štúdie na účely rozšírenia a programov na použitie lieku v naliehavých prípadoch. Ak ste však účastníkom klinickej štúdie alebo programu na použitie lieku v naliehavých prípadoch a potrebujete viac informácií o svojej liečbe, obráťte sa na svojho ošetrojúceho lekára.

Súhrn stanoviska výboru pre lieky na ojedinelé ochorenia k lieku Bosatria sa nachádza [tu](#).