

12. júla 2012
EMA/CHMP/483389/2012
EMA/H/C/002427

Otázky a odpovede

Stiahnutie žiadosti o povolenie na uvedenie na trh pre liek Egrifta (tesamorelín)

Dňa 21. júna 2012 spoločnosť Ferrer Internacional, S.A. oficiálne oznámila Výboru pre lieky na humánne použitie (CHMP) rozhodnutie stiahnuť svoju žiadosť o povolenie na uvedenie na trh pre liek Egrifta, ktorý sa mal používať na liečbu nadmerného brušného tuku u pacientov nakazených vírusom HIV s lipodystrofiou.

Čo je liek Egrifta?

Liek Egrifta obsahuje účinnú látku tesamorelín. Mal byť dostupný ako prášok na prípravu injekčného roztoku.

Aké bolo predpokladané použitie lieku Egrifta?

Predpokladalo sa, že liek Egrifta sa bude používať na liečbu nadmerného brušného tuku u pacientov nakazených vírusom HIV s lipodystrofiou, ochorením, ktoré spôsobuje zmeny v distribúcii telesného tuku. Je známe, že lipodystrofia sa vyskytuje u niektorých pacientov nakazených vírusom HIV, u ktorých spôsobuje stratu tuku v niektorých častiach tela a niekedy aj nadmerné hromadenie tuku v bruchu.

Akým spôsobom by mal liek Egrifta účinkovať?

Účinná látka v lieku Egrifta tesamorelín sa podobá „faktoru uvoľňujúcemu ľudský rastový hormón“ (GRF), čo je hormón, ktorý v tele stimuluje uvoľňovanie rastového hormónu. Preukázalo sa, že rastový hormón zohráva úlohu pri regulácii tvorby a odbúravania tukového tkaniva.

Predpokladá sa, že tesamorelín pôsobí podobným spôsobom ako GRF a spôsobuje uvoľňovanie rastového hormónu, ktorý mal potom zvyšovať odbúravanie tuku u pacientov nakazených vírusom HIV s lipodystrofiou, a tým znižovať nadmerné množstvo tuku v bruchu.

Akou dokumentáciou podložila spoločnosť svoju žiadosť?

Spoločnosť predložila výsledky dvoch hlavných štúdií zahŕňajúcich 816 pacientov nakazených vírusom HIV s nadmerným hromadením brušného tuku. Štúdie porovnávali liek Egrifta s placebom (zdanlivým liekom), pričom hlavnou mierou účinnosti bola zmena množstva brušného tuku po 26 týždňoch liečby.

V akej fáze hodnotenia bola žiadosť v čase stiahnutia?

Žiadosť bola stiahnutá po tom, ako výbor CHMP vyhodnotil dokumentáciu, ktorú spoločnosť predložila, a sformuloval zoznam otázok. Po preskúmaní odpovedí spoločnosti na poslednú sériu otázok výborom CHMP ešte stále zostali niektoré otázky nevyriešené.

Aké bolo v tom čase odporúčanie výboru CHMP?

Na základe preskúmania údajov a odpovedí spoločnosti na zoznamy otázok výboru CHMP mal výbor CHMP v čase stiahnutia žiadosti určité výhrady a dospel k predbežnému stanovisku, že liek Egrifta nemôže byť povolený na liečbu nadmerného brušného tuku u pacientov nakazených vírusom s lipodystrofiou.

Výbor CHMP vyjadril obavy v súvislosti so spôsobom používania lieku Egrifta v klinickej praxi, pretože by bolo náročné odlíšiť nadmerný brušný tuk spôsobený lipodystrofiou od nadmerného tuku spôsobeného obezitou. Výbor CHMP zvážil návrh spoločnosti obmedziť používanie lieku na pacientov s množstvom brušného tuku nad určitou hodnotou (definovanou ako viac než 130 cm²), ale dôkazy na podporu medznej hodnoty sa nepovažovali za dostačujúce.

Navyše, hoci sa v hlavných štúdiách preukázalo zníženie množstva brušného tuku pri liečbe liekom Egrifta, nepotvrdilo sa, že toto zníženie je klinicky významné z hľadiska skutočných zdravotných prínosov pre pacientov. Význam výsledkov spochybnilo aj to, že pacienti v hlavných štúdiách neboli reprezentatívnou vzorkou európskych pacientov s HIV, ktorí majú nižší priemerný index telesnej hmotnosti (BMI) a menšie množstvo brušného tuku ako pacienti v štúdiách.

Pokiaľ ide o bezpečnosť, výbor CHMP konštatoval, že u značného počtu pacientov liečených liekom Egrifta došlo k nárastu hladiny proteínu nazývaného rastový faktor 1 (IGF-1) podobný inzulínu. Vysoká hladina IGF-1 môže byť spojená so zvýšeným rizikom rakoviny a potenciálnym zhoršením diabetickej choroby oka, čo výbor považoval za veľké bezpečnostné riziko. Navyše neboli poskytnuté žiadne dlhodobé údaje o bezpečnosti, hoci sa predpokladalo, že liečba liekom Egrifta bude dlhodobá.

Výbor CHMP preto v čase stiahnutia žiadosti zastával názor, že prínosy lieku Egrifta neprevyšujú jeho riziká.

Aké dôvody na stiahnutie žiadosti uviedla spoločnosť?

Spoločnosť v oficiálnom liste uviedla, že sa rozhodla stiahnuť žiadosť, pretože výbor CHMP usúdil, že poskytnuté údaje mu neumožňujú dospieť k záveru o kladnom pomere prínosu a rizika.

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

Aké sú dôsledky stiahnutia žiadosti pre pacientov, ktorí sa zúčastňujú na klinických skúšaniach alebo na programoch na použitie v naliehavých prípadoch?

Spoločnosť informovala výbor CHMP, že to nebude mať žiadne dôsledky pre pacientov, ktorí sú v súčasnosti účastníkmi programov na použitie lieku Egrifta v naliehavých prípadoch.

Ak ste však účastníkom programu na použitie v naliehavých prípadoch a potrebujete viac informácií o liečbe, obráťte sa na svojho ošetrojúceho lekára.