



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

18. marca 2010
EMA/265145/2010
EMA/H/C/1115

Otázky a odpovede

Stiahnutie žiadosti o povolenie na uvedenie lieku Tyvaso na trh (treprostinil sodný)

Dňa 17. februára 2010 spoločnosť United Therapeutics Europe Ltd oficiálne oznámila Výboru pre lieky na humánne použitie (CHMP) rozhodnutie stiahnuť svoju žiadosť o povolenie na uvedenie lieku Tyvaso na trh, určeného na použitie ako dopĺňujúca liečba pre pacientov s pľúcnou arteriálnou hypertenziou.

Čo je Tyvaso?

Tyvaso je liek, ktorý obsahuje účinnú látku treprostinil sodný. Liek mal byť dostupný vo forme roztoku do rozprašovača.

Aké bolo predpokladané použitie lieku Tyvaso?

Liek Tyvaso sa mal používať na liečbu pacientov s pľúcnou arteriálnou hypertenziou na zlepšenie pohybovej kapacity (schopnosť vykonávať fyzickú činnosť). Pľúcna arteriálna hypertenzia je abnormálne vysoký krvný tlak v pľúcnych artériách.

Liek Tyvaso sa mal používať v prípade pacientov s pľúcnou arteriálnou hypertenziou, klasifikovanou ako funkčná trieda III podľa Newyorskej kardiologickej spoločnosti, ktorí boli tiež liečení antagonistom endotelínového receptora alebo inhibítorom fosfodiesterázy-5 (ďalšie lieky na pľúcnu arteriálnu hypertenziu). V rámci tejto triedy sa odrzkadľuje závažnosť pľúcnej arteriálnej hypertenzie: trieda III znamená výrazné obmedzenie fyzickej činnosti. Liek Tyvaso sa mal podávať inhalačne, pričom pacient mal liek vdychovať priamo do pľúc.

Liek Tyvaso bol 14. apríla 2004 označený za liek na ojedinelé ochorenia (liek, ktorý sa používa pri zriedkavých ochoreniach) na liečbu pľúcnej arteriálnej hypertenzie.

Akým spôsobom by mal liek Tyvaso účinkovať?

Pľúcna arteriálna hypertenzia je vysilujúce ochorenie, pri ktorom sú veľmi zúžené krvné cievy v pľúcach. Ochorenie spôsobuje vysoký krvný tlak v cievach odvádzajúcich krv zo srdca do pľúc. Tento tlak znižuje množstvo kyslíka, ktoré sa môže dostať do krvi, v dôsledku čoho je fyzická činnosť namáhavejšia.



Účinná látka v lieku Tyvaso, treprostinil sodný, je analóg prostacyklínu, prirodzene sa vyskytujúcej molekuly, ktorá spôsobuje rozširovanie krvných ciev. Predpokladá sa, že keď sa liek vdýchne, treprostinil sodný spôsobí rozšírenie krvných ciev v pľúcach, čo by mohlo znížiť abnormálne vysoký krvný tlak v pľúcnych artériách.

Akou dokumentáciou podložila spoločnosť svoju žiadosť?

Keďže lieky obsahujúce treprostinil sú v Európe dostupné od roku 2005, spoločnosť použila niektoré z týchto údajov na podporu svojej žiadosti pre liek Tyvaso. Spoločnosť predložila výsledky z jednej hlavnej štúdie, na ktorej sa zúčastnilo 235 pacientov s pľúcnou arteriálnou hypertenziou. Títo pacienti tiež dostávali antagonistu endotelínového receptora alebo inhibítor fosfodiesterázy-5. Pacienti dostávali k svojej prebiehajúcej liečbe ako prídavok buď liek Tyvaso, alebo placebo (zdanlivý liek). Hlavnou mierou účinnosti bola zmena vo vzdialenosti, ktorú pacienti mohli prejsť za šesť minút po 12 týždňoch liečby.

V akej fáze hodnotenia bola žiadosť v čase stiahnutia?

Spoločnosť stiahla svoju žiadosť na 181. deň od jej podania. To znamená, že výbor CHMP vyhodnotil dokumentáciu, ktorú spoločnosť predložila, a sformuloval zoznam otázok. Po preskúmaní odpovedí spoločnosti na posledné kolo otázok výborom CHMP, niektoré otázky ostali ešte nevyriešené.

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. Hlavná výhrada bola tá, že kontrolami na dvoch miestach, kde sa uskutočnila jediná hlavná štúdia, sa preukázalo, že štúdia sa neuskutočnila v súlade s požiadavkami správnej klinickej praxe (GCP). V dôsledku toho sa výsledky štúdie nepovažovali za spoľahlivé a výbor CHMP dospel k záveru, že liek sa nemohol schváliť na základe údajov, ktoré predložila spoločnosť.

Aké dôvody na stiahnutie žiadosti uviedla spoločnosť?

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

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

Spoločnosť informovala výbor CHMP, že v čase stiahnutia žiadosti v Európe prebiehala jedna klinická skúška a že liek Tyvaso sa tiež poskytoval v rámci programu na použitie lieku v nevyhnutných prípadoch v jednom špecializovanom stredisku v Nemecku. Liečba týchto pacientov bude pokračovať, kým nebudú dostupné alternatívne terapie.

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