



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

19. apríla 2012
EMA/CHMP/255106/2012
EMA/H/C/002096

Otázky a odpovede

Zamietnutie povolenia na uvedenie na trh pre liek Folutyn (pralatrexát)

Výsledok opätovného preskúmania

Dňa 19. januára 2012 Výbor pre lieky na humánne použitie (CHMP) prijal negatívne stanovisko, v ktorom odporúča zamietnutie povolenia na uvedenie na trh pre liek Folutyn určený na liečbu periférneho T-bunkového lymfómu. O povolenie požiadala spoločnosť Allos Therapeutics Limited.

Žiadateľ požiadal o opätovné preskúmanie tohto stanoviska. Výbor CHMP po zvážení odôvodnenia tejto žiadosti opätovne preskúmal pôvodné stanovisko a 19. apríla 2012 potvrdil zamietnutie povolenia na uvedenie na trh.

Čo je liek Folutyn?

Folutyn je liek, ktorý obsahuje účinnú látku pralatrexát. Mal byť dostupný ako infúzny roztok (na kvapkanie do žily).

Aké bolo predpokladané použitie lieku Folutyn?

Predpokladalo sa, že liek Folutyn sa bude používať na liečbu periférneho T-bunkového lymfómu u dospelých, čo je rakovina bielych krviniek nazývaných T-bunky.

Liek Folutyn bol dňa 13. apríla 2007 označený za liek na ojedinelé ochorenia (liek, ktorý sa používa pri zriedkavých ochoreniach) na liečbu periférneho T-bunkového lymfómu.

Akým spôsobom by mal liek Folutyn účinkovať?

Pralatrexát je antimetabolit. V tele by mal nahrádzať kyselinu listovú a viazať sa na enzým dihydrofolátreduktázu (DHFR). DHFR je nevyhnutná na tvorbu novej DNA, ktorá je potrebná pri delení a rozmnožovaní buniek. Očakáva sa, že pralatrexát bude naviazaním sa na DHFR blokovať aktivitu enzýmu a inhibovať tak delenie rakovinových buniek, prípadne ich zabíjať.



Akou dokumentáciou podložila spoločnosť svoju žiadosť?

Účinok lieku Folutyn sa najprv skúmal na pokusných modeloch a potom na ľuďoch. Spoločnosť predložila výsledky z jednej hlavnej štúdie, na ktorej sa zúčastnilo celkovo 115 dospelých osôb s periférnym T-bunkovým lymfómom, ktorý sa neustále vracal alebo nereagoval na predchádzajúce liečby. Pacientom sa podával liek Folutyn spolu s vitamínom B12 a kyselinou listovou ako doplnkami (na doplnenie nedostatku týchto vitamínov, ktorý sa môže vyskytnúť počas liečby liekom Folutyn). Hlavné meradlo účinnosti bolo založené na podiele pacientov, ktorí reagovali na liečbu. Reakcia na liečbu sa pohybovala v rozmedzí od zlepšenia choroby až po žiadne známky karcinómu. V tejto štúdii sa liek Folutyn neporovnával s inou liečbou.

Aké boli hlavné výhrady výboru CHMP, ktoré viedli k zamietnutiu?

V januári 2012 mal výbor CHMP výhrady voči tomu, že hlavná štúdia bola navrhnutá spôsobom, na základe ktorého výbor nemohol posúdiť prínosy lieku Folutyn, a to najmä preto, že nebol porovnávaný s inou liečbou alebo placebom (zdanlivým liekom) u inej skupiny pacientov. Okrem toho nedošlo k žiadnemu zlepšeniu zdravotného stavu pacientov, pretože v štúdii sa skúmala reakcia pacientov na liečbu, avšak výbor nedokázal vyhodnotiť vplyv na celkové prežívanie (ako dlho pacienti žili) ani prežívanie bez progresie (ako dlho pacienti žili bez toho, aby sa ich choroba zhoršila). Výbor CHMP zaujal stanovisko, že dôkazy neboli dostatočné na to, aby bolo možné stanoviť prínosy lieku Folutyn pri liečbe periférneho T-bunkového lymfómu. Výbor CHMP preto v tom čase dospel k názoru, že prínosy lieku Folutyn neprevyšujú jeho riziká a odporučil zamietnuť povolenie na uvedenie na trh.

V rámci opätovného preskúmania v apríli 2012 neboli výhrady výboru CHMP vyriešené. Výbor CHMP sa konkrétne domnieval, že údaje predložené žiadateľom neboli dostatočné na to, aby bolo možné stanoviť prínosy lieku Folutyn pri liečbe periférneho T-bunkového lymfómu. Výbor CHMP preto potvrdil svoje pôvodné negatívne stanovisko.

Aké sú dôsledky tohto zamietnutia pre pacientov, ktorí sa zúčastňujú na klinických skúšaní alebo na programoch na použitie lieku v naliehavých prípadoch?

Spoločnosť informovala výbor CHMP, že to nebude mať žiadne dôsledky pre pacientov, ktorí sú v súčasnosti účastníkmi klinických skúšaní alebo programov na použitie lieku Folutyn v naliehavých prípadoch. Ak ste však účastníkom klinického skúšania alebo programu na použitie lieku v naliehavých prípadoch a potrebujete viac informácií o liečbe, obráťte sa na svojho ošetrojúceho lekára.

Súhrn stanoviska Výboru pre lieky na ojedinelé ochorenia pre liek Folutyn je dispozíciou na webovej stránke agentúry: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.