



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

13. november 2020
EMA/594092/2020
EMA/H/C/005123

Umik vloge za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Puldysa (idebenon)

Podjetje Santera Pharmaceuticals (Nemčija) GmbH je umaknilo svojo vlogo za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Puldysa, namenjenim zdravljenju Duchennove mišične distrofije.

Podjetje je vlogo umaknilo 28. oktobra 2020.

Kaj je zdravilo Puldysa in za kaj naj bi se uporabljalo?

Zdravilo Puldysa je bilo razvito za zdravljenje poslabšanja dihalne funkcije pri bolnikih z Duchennovo mišično distrofijo.

Zdravilo vsebuje učinkovino idebenon in naj bi bilo na voljo v obliki filmsko obloženih tablet, ki bi se jemale peroralno.

Razvito je bilo kot „hibridno zdravilo“. To pomeni, da naj bi bilo podobno „referenčnemu zdravilu“, ki vsebuje enako učinkovino in je že odobreno v Evropski uniji. Referenčno zdravilo je zdravilo Mnesis, ki je odobreno v Italiji za zdravljenje glavkoma.

Zdravilo Puldysa je bilo dne 20. marca 2007 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni) za Duchennovo mišično distrofijo. Več informacij o zdravilih sirotah je na voljo [tukaj](#).

Kako zdravilo Puldysa deluje?

Učinkovina v zdravilu Puldysa, idebenon, je antioksidant, ki deluje na mitohondrije (strukture znotraj celic, ki ustvarjajo energijo, potrebno za njihovo delovanje). Pri bolnikih z Duchennovo mišično distrofijo mitohondriji ne delujejo pravilno in proizvajajo toksične oblike kisika, ki poškodujejo mišične celice. Menijo, da idebenon pomaga izboljšati tvorbo energije, tako da ponovno vzpostavi delovanje mitohondrijev, kar preprečuje celične poškodbe in izgubo delovanja mišic, tudi dihalnih.

Idebenon je v EU odobren tudi za zdravljenje kognitivnih in vedenjskih motenj, Friedreichove ataksije in Leberjeve dedne optične nevropatije.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Katero dokumentacijo je podjetje predložilo v podporo svoji vlogi?

Podjetje je predložilo rezultate treh glavnih študij, ki so vključevale bolnike z Duchennovo mišično distrofijo, ki se niso zdravili s kortikosteroidi. V dveh študijah so zdravilo Puldysa primerjali s placebom (zdravilom brez učinkovine), učinkovitost pa so merili z izboljšanjem pljučne funkcije ali spremembo PEF (največjega pretoka izdihanega zraka, pokazatelja dihalne funkcije) po enem letu zdravljenja. V tretji študiji so bolnike, ki so prejeli zdravilo Puldysa, spremljali dlje, da bi ugotovili, ali so se učinki na dihanje ohranili.

Kako daleč je bil postopek ocenjevanja vloge ob njenem umiku?

Vlogo so umaknili po tem, ko je Evropska agencija za zdravila že ocenila začetno dokumentacijo, ki jo je predložilo podjetje, in oblikovala seznam vprašanj. Potem ko je agencija ocenila odgovore podjetja na zadnji sklop vprašanj, so nekatera vprašanja še vedno ostala nerešena.

Kakšno je bilo takrat priporočilo agencije?

Agencija je na podlagi pregleda podatkov in odgovorov podjetja na zastavljena vprašanja ob umiku vloge izrazila določene zadržke in začasno menila, da zdravila Puldysa ni mogoče odobriti za zdravljenje poslabšanja dihalne funkcije pri bolnikih Duchennovo mišično distrofijo, ki ne prejema kortikosteroidov.

Agencija je menila, da koristni učinki na delovanje pljuč niso bili dosledni v vseh študijah in da ni jasno, ali bi se lahko ohranili dolgotrajno.

Zato je agencija ob umiku vloge menila, da koristi zdravila Puldysa ne odtehtajo z njim povezanih tveganj.

Kakšni so bili razlogi podjetja za umik vloge?

Podjetje je v [dopisu](#), s katerim agencijo obvešča o umiku vloge, navedlo, da umika vlogo potem, ko so ustavili potekajočo glavno študijo, ki naj bi zagotovila dodatne dokaze o delovanju zdravila Puldysa pri Duchennovi mišični distrofiji, ker ni mogla doseči svojih ciljev.

Kakšne so posledice umika vloge za bolnike, ki sodelujejo v kliničnih preskušanjih ali programih sočutne uporabe zdravila?

Podjetje je agencijo obvestilo, da se vsa klinična preskušanja in programi sočutne uporabe zdravila Puldysa za zdravljenje Duchennove mišične distrofije prekinejo. Zdravniki, ki sodelujejo v kliničnih preskušanjih, bodo stopili v stik z bolniki in se dogovorili za organizacijo zadnjega kontrolnega pregleda.

Če ste vključeni v klinično preskušanje ali program sočutne uporabe in potrebujete več informacij, se obrnite na zdravnika, ki sodeluje v kliničnem preskušanju.