

London, 30. maj 2008
Sklic dok. EMEA/304454/2008

**VPRAŠANJA IN ODGOVORI V ZVEZI Z UMIKOM VLOGE ZA DOVOLJENJE ZA
PROMET
z zdravilom
ORBEC**

Mednarodno nelastniško ime (INN): **beklometazon dipropionat**

Družba DOR BIOPHARMA UK Ltd je dne 22. maja 2008 uradno obvestila Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP), da želi umakniti vlogo za dovoljenje za promet z zdravilom orBec, namenjenim zdravljenju gastrointestinalne bolezni presadka proti gostitelju. Zdravilo orBec je bilo dne 13. marca 2002 določeno kot zdravilo sirota.

Kaj je zdravilo orBec?

Zdravilo orBec je zdravilo, ki vsebuje zdravilno učinkovino beklometazon dipropionat. Na voljo naj bi bilo v obliki dveh ločenih tablet, ki bi se naj jemali skupaj: ena tableta s takojšnjim sproščanjem (takojšnje sproščanje pomeni, da je tableta narejena tako, da omogoča takojšnje sproščanje zdravilne učinkovine), druga tableta pa je gastrozistentna (gastrozistentnost pomeni, da lahko vsebina tablete preide skozi želodec, ne da bi se pri tem razkrojila, dokler ne doseže črevesja).

Za kaj naj bi se zdravilo orBec uporabljalo?

Zdravilo orBec naj bi se uporabljalo za zdravljenje gastrointestinalne bolezni presadka proti gostitelju. Gastrointestinalna bolezen presadka proti gostitelju se lahko pojavi pri bolnikih po presaditvi tkiv ali organov, ko celice v presajenem tkivu ali organu telo bolnika prepoznajo kot „tujek“ in napadejo njegovo telo. Bolniki z gastrointestinalno boleznijo presadka proti gostitelju imajo poškodovan želodec in črevesje, kar lahko povzroči huda vnetja teh organov.

Kako naj bi zdravilo orBec delovalo?

Zdravilna učinkovina v zdravilu orBec, beklometazon dipropionat, je kortikosteroid, ki se od 1970-ih uporablja v zdravilih za vdihavanje ter zdravilih za nos in kožo. Deluje tako, da zavira delovanje imunskega sistema (naravni obrambni mehanizem telesa), in sicer tako, da se veže na receptorje v različnih vrstah imunskih celic. Beklometazon dipropionat v zdravilu orBec bi se naj jemal peroralno, tako da bi lahko zdravilna učinkovina delovala v želodcu in črevesju. Zdravilo naj bi blokiralo receptorje v želodcu in črevesju ter tako zmanjšalo lokalno proizvodnjo snovi, ki sodelujejo pri prepoznavanju tujih celic in pri vnetnih procesih. To naj bi posledično ugodno vplivalo na zmanjševanje poškodb želodca in črevesja.

Katero dokumentacijo je družba predložila CHMP v podporo svoji vlogi?

Predlagatelj je predstavil podatke o poskusnih modelih za beklometazon dipropionat iz znanstvene literature.

Učinkovitost zdravila orBec so preučevali v eni glavni študiji, v kateri so pri 129 bolnikih z gastrointestinalno boleznijo presadka proti gostitelju zdravilo orBec primerjali s placebom (zdravilom brez zdravilne učinkovine). Glavno merilo učinkovitosti je bil čas v okviru 50-dnevnega zdravljenja, v katerem se je pokazalo, da zdravljenje ni bilo uspešno.

Kako daleč je bil postopek ocenjevanja vloge ob njenem umiku?

Družba je vlogo umaknila na 180. dan postopka.

Potem ko je CHMP ocenil odgovore družbe na seznam vprašanj, so nekatera tehtna vprašanja še vedno ostala nerešena.

CHMP običajno potrebuje do 210 dni za ocenjevanje nove vloge. Na podlagi pregleda začetne dokumentacije CHMP pripravi seznam vprašanj (120. dan), ki ga pošlje družbi. Ko družba predloži odgovore na vprašanja, jih CHMP pregleda in lahko pred izdajo svojega mnenja na 180. dan postopka zastavi morebitna druga vprašanja. Potem ko CHMP izda svoje mnenje, navadno traja približno dva meseca, preden Evropska komisija dovoljenje odobri.

Kakšno je bilo takrat priporočilo CHMP?

Na podlagi pregleda podatkov in odgovorov družbe na seznam vprašanj, ki jih je do umika vloge zastavil CHMP, je Odbor izrazil določene zadržke in je začasno menil, da zdravila orBec ni mogoče odobriti za zdravljenje gastrointestinalne bolezni presadka proti gostitelju.

Kateri so bili glavni zadržki CHMP?

CHMP je izrazil zaskrbljenost, da edina glavna študija ni izkazala učinkovitosti zdravila orBec. Zdravilo orBec ni bilo bistveno učinkovitejše od placeba pri podaljševanju časa do ponovnega pojava bolezni v okviru 50-dnevnega zdravljenja. CHMP je bil zaskrbljen tudi zaradi dejstva, da je bila večina v študiji sodelujočih bolnikov iz enega samega študijskega centra, tako da rezultati niso bili reprezentativni za celotno populacijo. Poleg tega je Odbor izpostavil tudi pomanjkanje podatkov o načinu delovanja zdravilne učinkovine zdravila orBec v želodcu in črevesju pri zdravljenju gastrointestinalne bolezni presadka proti gostitelju.

CHMP je v času umika menil, da koristi zdravila orBec niso bile zadostno dokazane in da ne odtehtajo znanih tveganj.

Kakšni so bili razlogi družbe za umik vloge?

Dopis, s katerim družba agencijo EMEA obvešča o umiku vloge, je na voljo [tukaj](#).

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

Družba je obvestila CHMP, da umik nima nobenih posledic za bolnike, ki trenutno sodelujejo v kliničnih preskušanjih ali programih sočutne uporabe zdravila orBec.

Če ste vključeni v klinično preskušanje ali program sočutne uporabe ter potrebujete več informacij o zdravljenju, se obrnite na zdravnika, ki vam je predpisal zdravljenje.