

London, 20. avgust 2009
Sklic dok.: EMEA/702709/2009
EMA/H/C/1069

**Vprašanja in odgovori v zvezi z umikom vloge za dovoljenje za promet
z zdravilom
Bosatria
mepolizumab**

Družba Glaxo Group Limited je dne 28. julija 2009 uradno obvestila Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP), da želi umakniti vlogo za dovoljenje za promet z zdravilom Bosatria, namenjenim zdravljenju odraslih bolnikov s hipereozinofilnim sindromom za zmanjšanje ali odpravo potrebe po zdravljenju s kortikosteroidi in zmanjšanje števila eozinofilcev v krvi.

Kaj je zdravilo Bosatria?

Zdravilo Bosatria je prašek za pripravo raztopine za infundiranje (kapalne infuzije v veno). Vsebuje zdravilno učinkovino mepolizumab.

Za kaj naj bi se zdravilo Bosatria uporabljalo?

Zdravilo Bosatria naj bi se uporabljalo za zdravljenje odraslih bolnikov s hipereozinofilnim sindromom. Pri tej bolezni ni več nadzora nad nastajanjem eozinofilcev (vrste belih krvnih celic), ki se kopičijo v tkivih številnih organov in lahko poškodujejo organe, kot so srce, jetra in pljuča. Zdravilo Bosatria naj bi se uporabljalo pri bolnikih, ki nimajo gena, imenovanega „fuzijski gen FIP1L1-PDGRF“, za zmanjšanje ali odpravo potrebe po zdravljenju s kortikosteroidi (steroidi, ki so se uporabljali za zdravljenje te bolezni) in zmanjšanje števila eozinofilcev v krvi. Zdravilo Bosatria je bilo dne 29. julija 2004 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo, ki se uporablja pri redkih boleznih) za zdravljenje hipereozinofilnega sindroma.

Kako naj bi zdravilo Bosatria delovalo?

Zdravilna učinkovina zdravila Bosatria je mepolizumab, ki je monoklonsko protitelo. Monoklonsko protitelo je protitelo (vrsta beljakovine), ki prepozna in se veže na specifično strukturo (ki ji pravimo antigen) v telesu. Mepolizumab je izdelan tako, da se veže na sporočilno kemikalijo, imenovano interleukin 5 (IL-5), ki sodeluje pri nastajanju eozinofilcev. Mepolizumab naj bi z vezavo na IL-5 zmanjšal kopičenje eozinofilcev v krvi in s tem zmanjšal simptome bolnikov s hipereozinofilnim sindromom.

Katero dokumentacijo je družba predložila CHMP v podporo svoji vlogi?

Učinki zdravila Bosatria so bili najprej preskušeni na poskusnih modelih, nato pa so jih raziskali pri ljudeh. V eni glavni študiji, v katero je bilo vključenih 85 odraslih bolnikov s hipereozinofilnim sindromom, so zdravilo Bosatria primerjali s placebom (zdravilom brez zdravilne učinkovine). Vsem bolnikom je manjkal fuzijski gen FIP1L1-PDGRF in so se zdravili s prednizonom (kortikosteroidom), ki je pripomogel k stabilizaciji simptomov. Med študijo so bolniki prejeli bodisi zdravilo Bosatria bodisi placebo, medtem pa so postopoma zmanjšali količino prejetega prednizona. Glavno merilo učinkovitosti je bilo število bolnikov, pri katerih so lahko dnevni odmerek prednizona za 8 tednov zmanjšali na 10 mg ali manj.

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 zdravilo Bosatria ni mogoče odobriti za zdravljenje odraslih bolnikov s hipereozinofilnim sindromom in brez fuzijskega gena FIP1L1-PDGFR za zmanjšanje ali odpravo potrebe po zdravljenju s kortikosteroidi in zmanjšanje števila eozinofilcev v krvi.

Kateri so bili glavni zadržki CHMP?

CHMP je menil, da v glavni študiji ni bilo zadostnih dokazov, s katerimi bi dokazali, da je zdravilo Bosatria učinkovito pri zmanjševanju potrebe po zdravljenju s kortikosteroidi. CHMP je imel tudi zadržke glede ustreznosti metode, ki jo je družba uporabljala za določitev količine različnih oblik zdravilne učinkovine v zdravilu. CHMP je v času umika menil, da koristi zdravila Bosatria ne odtehtajo z njim povezanih tveganj za zdravljenje odraslih bolnikov s hipereozinofilnim sindromom in brez fuzijskega gena FIP1L1-PDGFR za zmanjšanje ali odpravo potrebe po zdravljenju s kortikosteroidi in zmanjšanje števila eozinofilcev v krvi.

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 Bosatria?

Družba je obvestila CHMP, da bo zdravilo Bosatria še naprej na razpolago bolnikom v odprtem podaljšku študije ter v programih sočutne uporabe. 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.

Povzetek mnenja Odbora za zdravila sirote o zdravilu Bosatria je na voljo [tukaj](#).