

14. december 2012
EMA/20321/2013
EMA/H/C/2259

Vprašanja in odgovori

Umik vloge za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Jenzyl (ridaforolimus)

Družba Merck Sharp & Dohme Limited je dne 27. novembra 2012 uradno obvestila Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP), da želi umakniti vlogo za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Jenzyl, namenjenim vzdrževalnemu zdravljenju bolnikov z metastatskim sarkomom mehkih tkiv ali kostnim sarkomom, ki so že bili zdravljeni s kemoterapijo.

Kaj je zdravilo Jenzyl?

Jenzyl je zdravilo, ki vsebuje zdravilno učinkovino ridaforolimus. Na voljo naj bi bilo v obliki 10-miligramskih tablet.

Za kaj naj bi se zdravilo Jenzyl uporabljalo?

Zdravilo Jenzyl naj bi se uporabljalo za zdravljenje odraslih s sarkomom mehkih tkiv (vrsto raka, ki prizadene mehka vezivna tkiva v telesu) ali kostnim sarkomom (kostnim rakom), ki je metastaziral (se je razširil v druge dele telesa).

Zdravilo naj bi se uporabljalo za vzdrževalno zdravljenje bolnikov, ki so že bili zdravljeni z dvema ali tremi režimi kemoterapije.

Zdravilo Jenzyl je bilo dne 26. avgusta 2005 in 28. oktobra 2005 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni) za zdravljenje sarkoma mehkih tkiv in primarnih malignih kostnih tumorjev.

Kako naj bi zdravilo Jenzyl delovalo?

Zdravilna učinkovina v zdravilu Jenzyl, ridaforolimus, zavira delovanje encima, imenovanega „tarča rapamicina pri sesalcih“ (mTOR), ki uravnava rast in delitev celic v telesu in ki pri bolnikih s sarkomom deluje s povečano aktivnostjo. Ridaforolimus se v telesu najprej veže na beljakovino v celicah, imenovano FKBP-12, in z njo tvori „skupek“. Ta skupek nato zavira encim mTOR. Ker mTOR sodeluje

pri uravnavanju delitve celic in rasti krvnih žil, ridaforolimus preprečuje delitev tumorskih celic in zmanjšuje njihovo oskrbo s krvjo. S tem naj bi se upočasnila rast in proliferacija rakavih celic.

Katero dokumentacijo je družba predložila v podporo svoji vlogi?

Družba je predložila rezultate ene glavne študije, ki je zajela 711 bolnikov z metastatskim sarkomom mehkih tkiv ali kostnim sarkomom, ki so prejeli do štiri cikle enega, dveh ali treh alternativnih režimov kemoterapije. V študiji so zdravilo Jenzyl primerjali s placebo (zdravilom brez zdravilne učinkovine). Glavno merilo učinkovitosti je bil čas preživetja bolnikov do poslabšanja bolezni.

Kako daleč je bil postopek ocenjevanja vloge ob njenem umiku?

Vlogo so umaknili po tem, ko je CHMP ocenil dokumentacijo, ki jo je predložila družba, in oblikoval seznam vprašanj. Ob umiku vloge družba še ni odgovorila na zadnji krog vprašanj.

Kakšno je bilo takrat priporočilo CHMP?

Na podlagi pregleda podatkov in odgovorov družbe na seznam vprašanj, ki jih je zastavil CHMP, je Odbor v času umika izrazil določene zadržke in je začasno menil, da zdravila Jenzyl ni mogoče odobriti za vzdrževalno zdravljenje bolnikov z metastatskim sarkomom mehkih tkiv ali kostnim sarkomom.

CHMP je izrazil pomislek, da se je čas preživetja bolnikov do poslabšanja bolezni ob jemanju zdravila Jenzyl zgolj nekoliko podaljšal v primerjavi s placebo (s 15 na 18 tednov pri bolnikih, ki so prejeli enega ali več režimov predhodne kemoterapije, in z 10 na 16 tednov pri bolnikih, ki so prejeli dva ali tri režime predhodne kemoterapije). Ker so bolniki običajno živeli dolgo časa po tem, ko je bolezen napredovala, je CHMP presodil, da so koristi zdravila majhne. CHMP je tudi menil, da nekoliko večji učinek zdravila pri bolnikih, ki so prejeli dva ali tri režime predhodne kemoterapije, v primerjavi z bolniki, ki so prejeli enega ali več režimov, ne odraža nujno dejanskega obsega učinka zdravila, saj ni bilo pojasnjeno, zakaj naj bi bilo zdravilo učinkovitejše v poznejšem obdobju bolezni. Pri ocenjevanju varnosti zdravila je bil CHMP zaskrbljen zaradi pogostih stranskih učinkov, ki vplivajo na dobro počutje bolnika, in zaradi občasnih stranskih učinkov, ki so lahko smrtno nevarni.

Zato je CHMP v času umika menil, da koristi zdravila Jenzyl ne odtehtajo z njim povezanih tveganj.

Kakšni so bili razlogi družbe za umik vloge?

Družba je v dopisu, s katerim agencijo obvešča o umiku vloge, navedla, da se je za umik vloge odločila, ker je CHMP presodil, da predloženi podatki ne dokazujejo pozitivnega razmerja med koristmi in tveganji.

Dopis o umiku je na voljo [tukaj](#).

Kakšne so posledice umika za bolnike, ki sodelujejo v kliničnih preskušanjih?

Družba je obvestila CHMP, da umik nima nobenih posledic za bolnike, ki trenutno sodelujejo v kliničnih preskušanjih zdravila Jenzyl.

Če ste vključeni v klinično preskušanje in potrebujete več informacij o zdravljenju, se obrnite na zdravnika, ki vam je predpisal zdravljenje.

Povzetek mnenja Odbora za zdravila sirote o zdravilu Jenzyl je na voljo na spletni strani agencije: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation) ([sarkom mehkih tkiv](#) in [primarni maligni kostni tumorji](#)).