



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

20. januar 2011
EMA/13310/2011
EMA/H/C/001244

Vprašanja in odgovori

Umik vloge za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Tekinex (omacetaksin mepesukcinat)

Družba ChemGenex Europe SAS je dne 11. januarja 2011 uradno obvestila Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP), da želi umakniti vlogo za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Tekinex, namenjenim zdravljenju bolnikov s kronično mieloično levkemijo, pozitivno na kromosom Philadelphia, ki imajo mutacijo „T315I domene kinaze BCR-ABL“ in pri katerih je bilo predhodno zdravljenje z imatinibom neuspešno.

Kaj je zdravilo Tekinex?

Tekinex je zdravilo, ki vsebuje zdravilno učinkovino omacetaksin mepesukcinat. Na voljo naj bi bilo kot prašek za pripravo raztopine za injiciranje.

Za kaj naj bi se zdravilo Tekinex uporabljalo?

Zdravilo Tekinex naj bi se uporabljalo za zdravljenje odraslih bolnikov s kronično mieloično levkemijo (KML, rak vrste belih krvnih celic, imenovanih granulociti), „pozitivno na kromosom Philadelphia“ (Ph+). Ph+ pomeni, da so se določeni geni bolnika prerazporedili tako, da je nastal poseben kromosom, imenovan kromosom Philadelphia, ki tvori encim, kinazo BCR-ABL, ki povzroči razvoj levkemije.

Zdravilo naj bi se uporabljalo pri bolnikih, pri katerih je bilo predhodno zdravljenje z imatinibom (drugim zdravilom proti raku) neuspešno, verjetno zaradi mutacije gena za kinazo BCR-ABL, imenovane „mutacija T315I.“

Ker je bolnikov s KML malo, se bolezen šteje za „redko“ in zdravilo Tekinex je bilo dne 2. septembra 2004 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo, ki se uporablja za redke bolezni).



Kako naj bi zdravilo Tekinex delovalo?

Zdravilna učinkovina v zdravilu Tekinex, omacetaksin, je zaviralec nastajanja beljakovin. Izdelan je iz haringtonina, snovi, pridobljene iz aglaoneme. Način njegovega delovanja ni jasen, vendar naj bi prekinil nastajanje encima tirozin-kinaze BCR-ABL.

Druga zdravila, ki spadajo v skupino zaviralcev tirozin-kinaze, vključno z imatinibom, pri KML delujejo tako, da se vežejo neposredno na encim tirozin-kinaza BCR-ABL. Mutacija T315I spremeni določene lastnosti encima, kar oteži vezavo teh zdravil nanj. Ker omacetaksin ne deluje na ta način, mutacija T315I ne vpliva na njegovo delovanje. Zato so za zdravilo Tekinex pričakovali, da bo delovalo pri bolnikih s Ph+ z mutacijo T315I.

Katero dokumentacijo je družba predložila v podporo svoji vlogi?

Učinki zdravila Tekinex so bili najprej preskušeni na poskusnih modelih, nato pa so jih raziskali pri ljudeh. Družba je predložila rezultate glavne študije, v katero je bilo vključenih 66 bolnikov s KML, pozitivno na kromosom Philadelphia, in mutacijo T315I, pri katerih je bilo predhodno zdravljenje z imatinibom neuspešno. Zdravila Tekinex niso neposredno primerjali z nobeno drugo vrsto zdravljenja. V študiji so ugotavljali, kako se bolniki odzivajo na zdravljenje, in sicer na podlagi preiskav krvi, s katerimi so izmerili aktivnost raka.

Kako daleč je bil postopek ocenjevanja vloge ob njenem umiku?

Družba je vlogo umaknila na „120. dan.“ To pomeni, da je CHMP ocenil začetno dokumentacijo, ki jo je predložila, in sestavil seznam vprašanj. Ob umiku vloge družba še ni odgovorila na vprašanja.

Kakšno je bilo takrat priporočilo CHMP?

Na podlagi pregleda podatkov v času umika vloge je imel CHMP nekaj zadržkov in bil začasnega mnenja, da zdravila Tekinex ni mogoče odobriti.

CHMP je menil, da koristi zdravila niso jasne. Poleg tega je bilo sledenje bolnikom po zdravljenju nezadostno. Odbor je imel pomisleke, ali je varnost zdravila zadostna, da bi si ga bolniki dajali sami, kot je nameravala družba. CHMP je imel tudi zadržke glede odmerkov, ki so jih uporabili v študiji, in meril, uporabljenih za merjenje učinkovitosti zdravila. Po pregledu mest študije pa je Odbor ugotovil nekaj neskladnosti v vlogi, ki bi lahko vplivale na zanesljivost rezultatov študije.

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

Kakšni so bili razlogi družbe za umik vloge?

Dopis, s katerim družba agencijo obvešča o umiku vloge, je na voljo pod zavihkom „All documents“ (Vsi dokumenti).

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

Družba je obvestila CHMP, da se bodo klinična preskušanja z zdravilom Tekinex nadaljevala.

Povzetek mnenja Odbora za zdravila sirote za zdravilo Tekinex 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).