



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

18. marec 2010
EMA/265146/2010
EMA/H/C/1115

Vprašanja in odgovori

Umik vloge za dovoljenje za promet z zdravilom Tyvaso (treprostinil natrij)

Družba United Therapeutics Europe Ltd je dne 17. februarja 2010 uradno obvestila Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP), da želi umakniti vlogo za dovoljenje za promet z zdravilom Tyvaso, namenjenim kot dodatno zdravljenje pri bolnikih s pljučno arterijsko hipertenzijo.

Kaj je zdravilo Tyvaso?

Tyvaso je zdravilo, ki vsebuje zdravilno učinkovino treprostinil natrij. Zdravilo naj bi bilo na voljo v obliki raztopine v vlažilniku.

Za kaj naj bi se zdravilo Tyvaso uporabljalo?

Zdravilo Tyvaso naj bi se uporabljalo za zdravljenje bolnikov s pljučno arterijsko hipertenzijo, da bi se izboljšala vadbena zmogljivost (zmožnost izvajanja telesne dejavnosti). Pljučna arterijska hipertenzija je neobičajno visok krvni tlak v pljučnih arterijah.

Zdravilo Tyvaso naj bi se uporabljalo pri bolnikih s pljučno arterijsko hipertenzijo iz „funkcionalnega razreda III newyorškega združenja za srce“, ki so prejeli tudi „antagonist receptorja za endotelin“ ali „zaviralec fosfodiesteraze-5“ (drugo zdravilo za zdravljenje pljučne arterijske hipertenzije). Razred izraža resnost pljučne arterijske hipertenzije: za razred III je značilna izrazita omejitev telesne dejavnosti. Zdravilo Tyvaso naj bi se dajalo z vdihavanjem, tako da bolnik vdihava zdravilo neposredno v pljuča.

Zdravilo Tyvaso je bilo dne 14. aprila 2004 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo, ki se uporablja za redke bolezni) za zdravljenje pljučne arterijske hipertenzije.

Kako naj bi zdravilo Tyvaso delovalo?

Pljučna arterijska hipertenzija je izčrpavajoča bolezen, za katero je značilno hudo zoženje krvnih žil v pljučih. Povzroča visok krvni tlak v žilah, ki dovajajo kri iz srca v pljuča. Ta tlak zmanjšuje količino kisika, ki lahko vstopi v kri, kar otežuje telesno dejavnost.



Zdravilna učinkovina zdravila Tyvaso, treprostinil natrij, je analog prostaciklina, naravno prisotne molekule, ki povzroča širjenje krvnih žil. Ob vdihavanju naj bi treprostinil natrij povzročil širjenje krvnih žil v pljučih, kar bi sprostilo neobičajno visok krvni tlak v pljučnih arterijah.

Kaj je družba predložila v podporo svoji vlogi?

Ker so zdravila, ki vsebujejo treprostinil, v Evropi na voljo že od leta 2005, je družba uporabila nekatere izmed teh podatkov v podporo svoji vlogi za zdravilo Tyvaso. Družba je predstavila rezultate ene glavne študije z 235 bolniki s pljučno arterijsko hipertenzijo, ki so prejeli tudi antagonist receptorja za endotelin ali zaviralec fosfodiesteraze-5. Bolniki so kot dodatek k obstoječemu zdravljenju prejeli zdravilo Tyvaso ali placebo (zdravilo brez zdravilne učinkovine). Glavno merilo učinkovitosti je bila sprememba v razdalji, ki jo bolniki lahko prehodijo v šestih minutah po 12. tednih zdravljenja.

Kako daleč je bil postopek ocenjevanja vloge ob njenem umiku?

Vloga je bila umaknjena po „181. dnevu“. To pomeni, da je CHMP ocenil dokumentacijo, ki jo je predložila družba, in pripravil seznam vprašanj. Potem ko je CHMP ocenil odgovore družbe na zadnji krog vprašanj, so nekatera vprašanja še vedno ostala nerešena.

Kakšno je bilo takrat priporočilo CHMP?

Na podlagi pregleda podatkov in odgovorov družbe na sezname vprašanj, ki jih je do umika vloge zastavil CHMP, je Odbor izrazil zadržke. Glavni zadržek je bil, da so pregledi obeh krajev, kjer je potekala edina glavna študija, pokazali, da študija ni potekala v skladu z „dobro klinično prakso“. Posledično rezultati študije niso veljali za zanesljive, zato je CHMP zaključil, da zdravila ni mogoče odobriti na osnovi podatkov, ki jih je predstavila družba.

Kakšni so bili razlogi družbe za umik vloge?

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

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

Družba je obvestila CHMP, da je v času umika potekala ena klinična študija v Evropi in da se je zdravilo Tyvaso uporabljalo tudi v okviru sočutne uporabe v enem specialističnem centru v Nemčiji. Zdravljenje teh bolnikov se bo nadaljevalo, dokler ne bodo na voljo alternativne oblike zdravljenja.

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