



Въпроси и отговори относно препоръчването на отказ на разрешение за употреба за Sovrima

Международно непатентовано име (INN): *идебенон*

На 24 юли 2008 г. Комитетът по лекарствените продукти за хуманна употреба (CHMP) приема отрицателно становище, препоръчващо отказ за разрешение за употреба за лекарствения продукт Sovrima таблетки 150 mg, предназначен за лечение на атаксия на Фридрих. Компанията, кандидатствала за разрешение, е Santhera Pharmaceuticals (Deutschland) GmbH.

Кандидатът иска преразглеждане на становището. След разглеждане на основанията за искането CHMP преразглежда първоначалното становище и потвърждава отказа за разрешение за употреба на 20 ноември 2008 г.

Какво представлява Sovrima?

Sovrima е лекарствен продукт, съдържащ активното вещество идебенон. Предвиждало се е да се предлага под формата на таблетки (150 mg).

За какво се е очаквало да се използва Sovrima?

Очаквало се е Sovrima да се използва за лечение на атаксия на Фридрих. Според първоначалното заявление лекарството е предназначено за употреба при деца и млади възрастни пациенти, диагностицирани със заболяването през последните пет години, както и при възрастни с кардиомиопатия (увреждане на сърдечния мускул). По време на преразглеждане на становището обаче, очакваната употребата на лекарството е ограничена само до деца.

Атаксията на Фридрих е наследствено заболяване. Характеризира се с ред постепенно влошаващи се симптоми, вкл. затруднено ходене, неспособност за координиране на движенията, мускулна слабост, говорни проблеми, увреждане на сърдечния мускул и диабет. При възрастни заболяването обикновено е с летален изход.

На 8 март 2004 г. Sovrima е определен за „лекарство сирак“ за атаксия на Фридрих.

От 90-те години на XX век активното вещество в Sovrima се предлага в някои страни в Европа за когнитивни нарушения (проблеми при мислене, заучаване и запомняне), както и за болестта на Алцхаймер.

Как се очаква да действа Sovrima?

При пациентите с атаксия на Фридрих в организма няма достатъчни количества от протеина фратаксин. Фратаксин участва в изграждането на тези частици от клетките, които произвеждат енергия. Когато той липсва настъпва тежко нарушение на производството на енергия и се произвеждат силно реактивни и токсични форми на кислород. Тези силно реактивни форми на кислород увреждат клетки в мозъка, гръбначния стълб и нервите, а също така и в сърцето и панкреаса, което причинява симптомите на заболяването.

Активното вещество в Sovrima, идебенон, е антиоксидант. Очаква се да действа като увеличава производството на енергия в клетките и вероятно като неутрализира силно реактивните форми на кислород. Очаквало се е това да запази клетките от увреждане и да намали симптомите на атаксията на Фридрих.

Каква информация е представила компанията в подкрепа на своето заявление пред СНМР?

Преди провеждане на проучвания при хора ефектите на Sovgima са изследвани върху експериментални модели.

Ефикасността на Sovgima е оценена в едно основно проучване, включващо 48 пациенти. В проучването е сравнена ефективността на три различни дози Sovgima (5, 15 и 40 mg на килограм телесно тегло) с тази на плацебо (сляпо лечение) в продължение на шест месеца. Основната мярка за ефективност е промяната на вещество в кръвта, наречено деоксигуанозин, което е маркер за клетъчно увреждане, причинено от силно реактивни форми на кислород. В проучването е разгледана също така ефективността на Sovgima за контролиране на движенията, измерено според стандартна скала за симптомите на атаксия, според това как се повлияват ежедневните дейности, измерено с помощта на въпросник, както и действието на лекарството върху функцията на сърцето.

Какви са основните опасения, поради които СНМР препоръчва отказ на разрешение за употреба?

През юли 2008 г. СНМР изразява опасения, че ефективността на Sovgima не е доказана в единственото проведено проучване. В сравнение с плацебо Sovgima не показва значително подобрене по отношение на основната мярка за ефективност, както и на други разгледани параметри. Освен това СНМР изразява опасения, че няма ясно обяснение на факта, че средната доза Sovgima изглежда по-ефективна от по-високата доза. В допълнение подкрепящата информация от научната литература е незначителна и не доказва устойчива клинична полза от Sovgima за това заболяване.

След преразглеждане СНМР оттегля съображенията си относно средната доза Sovgima през ноември 2008 г. Комитетът поддържа останалите си съображения. Освен това СНМР изразява опасения, че представената от компанията информация не доказва, че Sovgima е по-ефективен при деца отколкото при първоначално предложената по-обширна група пациенти. СНМР отбелязва, че би било полезно да се предостави повече информация относно ефектите от Sovgima за предотвратяване на влошаването на сърдечни заболявания при деца.

Поради това, към онзи момент становището на СНМР е, че ползите от Sovgima при лечение на атаксия на Фридрих не превишават рисковете. Следователно СНМР препоръчва на Sovgima да бъде отказано разрешение за употреба.

Какви са последствията от отказа за пациентите, участващи в клинични изпитвания или програми за палиативна употреба със Sovgima?

Компанията уведомява СНМР, че няма последствия за пациентите, включени понастоящем в клинични изпитвания. Освен това компанията уведомява СНМР, че няма последствия за пациентите, включени в индивидуални програми или програми за палиативна употреба със Sovgima.

Ако участвате в клинично изпитване или в програмата за палиативна употреба и се нуждаете от повече информация за Вашето лечение, попитайте назначаващия лекар.

Какво става с идебенон за когнитивни нарушения и болест на Alzheimer?

Няма последствия за употребата на идебенон за одобрените показания, за които съотношението полза/риск остава непроменено.