



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

18. března 2010  
EMA/152214/2010  
EMA/H/C/1103

## Otázky a odpovědi

---

# Stažení žádosti o vydání rozhodnutí o registraci přípravku Cerepro (sitimagene ceradenovec)

Dne 8. března 2010 společnost Ark Therapeutics oficiálně oznámila Výboru pro humánní léčivé přípravky (CHMP), že se rozhodla stáhnout žádost o vydání rozhodnutí o registraci léčivého přípravku Cerepro, který byl určen k použití s ganciklovirem sodným při léčbě gliomu vysokého stupně, který může být operován.

## Co je Cerepro?

Cerepro je koncentrát pro přípravu injekčního roztoku, který obsahuje léčivou látku sitimagene ceradenovec.

Přípravek Cerepro byl vyvinut jako druh léčivého přípravku pro moderní terapie označovaný jako „přípravek genové terapie“. Jedná se o typ léčivého přípravku, který působí tak, že do těla dodává geny.

## Na co měl být přípravek Cerepro používán?

Přípravek Cerepro měl být používán v kombinaci s léčivým přípravkem nazývaným ganciklovir sodný v rámci léčby gliomu vysokého stupně u pacientů, u nichž je možné provést operaci. Gliom je typ nádoru mozku, který začíná v „gliových“ buňkách (buňkách, které obklopují a podporují nervové buňky).

Přípravek Cerepro byl dne 6. února 2002 označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“ pro léčbu gliomu vysokého stupně.

## Jak měl přípravek Cerepro působit?

Léčivá látka přípravku Cerepro, sitimagene ceradenovec, je typ viru, který byl upraven tak, aby do těla mohl přenášet gen proteinu „thymidinkináza“. V přípravku Cerepro je tímto virem „adenovirus“, který byl upraven tak, aby nemohl tvořit kopie, a nemohl tedy v lidském těle způsobit infekce.



Když se přípravek Cerepro injekčně aplikuje do mozku v průběhu operace, je modifikovaný virus zachycen buňkami v blízkosti místa vpichu. Buňky poté začnou produkovat thymidinkinázu. Tento protein měl působit tak, že přispěje k přeměně léčivého přípravku ganciklovir sodný do podoby, která dokáže hubit dělící se buňky. Ganciklovir sodný měl hubit zejména rychle se dělící nádorové buňky. Na běžné nervové buňky a buňky mimo nádor měl podle předpokladů působit menší měrou.

## **Jakou dokumentaci předložila společnost na podporu své žádosti?**

Účinky přípravku Cerepro byly nejdříve zkoumány na experimentálních modelech a teprve poté na lidech. Společnost také předložila údaje z jedné hlavní studie, do které bylo zařazeno 251 pacientů s operovatelným gliomem. Studie porovnávala účinky samostatné standardní léčby s účinky standardní léčby doplněné přípravkem Cerepro a ganciklovirem sodným. Hlavním měřítkem účinnosti byla doba, po kterou pacienti přežívali, aniž by k prodloužení života potřebovali další léčbu. Studie také hodnotila dobu přežití pacientů.

## **V jaké fázi bylo posuzování žádosti v době, kdy byla stažena?**

Posuzování bylo ukončeno a Výbor pro humánní léčivé přípravky (CHMP) vydal negativní stanovisko. Společnost si vyžádala prošetření negativního stanoviska, toto prošetření však nebylo v době stažení dokončeno.

## **Jaké bylo doporučení výboru CHMP v dané době?**

Jelikož přípravek Cerepro je léčivým přípravkem pro moderní terapie, byl hodnocen Výborem pro moderní terapie (*Committee for Advanced Therapies, CAT*). S ohledem na hodnocení, které provedl Výbor pro moderní terapie, výbor CHMP dospěl k závěru, že na základě výsledků hlavní studie, včetně posouzení hlavního měřítka účinnosti, se neprokázalo, že přípravek Cerepro je účinný. Přípravek Cerepro byl také spojován se zvýšeným rizikem výskytu závažných vedlejších účinků jako je hemiparéza (ochrnutí jedné poloviny těla) a záchvaty (křeče). Tyto vedlejší účinky byly vzhledem k nedostatečně prokázané účinnosti znepokojivé.

Výbor CHMP tedy v dané době z důvodu nedostatečně prokázané účinnosti zastával názor, že přínosy přípravku Cerepro nepřevyšují jeho rizika a doporučil jeho registraci zamítnout.

## **Jaké důvody stažení žádosti uvedla společnost?**

Dopis, v němž společnost uvědomuje Evropskou agenturu pro léčivé přípravky o svém rozhodnutí stáhnout žádost, je k dispozici [zde](#).

## **Jaké jsou důsledky stažení žádosti pro pacienty zařazené do klinických studií nebo do programů, v nichž je přípravek Cerepro podáván v rámci zvláštní léčby z humánních důvodů (na základě principu tzv. *compassionate use*)?**

Společnost informovala výbor CHMP, že v době stažení žádosti neprobíhaly žádné klinické studie ani formální programy podávání přípravku Cerepro v rámci zvláštní léčby z humánních důvodů.

Shrnutí stanoviska k přípravku Cerepro, vydaného Výborem pro léčivé přípravky pro vzácná onemocnění, je k dispozici [zde](#).