



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2012 m. liepos 12 d.
EMA/CHMP/483389/2012
EMA/H/C/002427

Klausimai ir atsakymai

Paraiškos gauti Egrifta (tesamorelino) rinkodaros teisę atsiėmimas

2012 m. birželio 21 d. bendrovė „Ferrer Internacional, S.A.“ oficialiai pranešė Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komitetui (CHMP) apie savo pageidavimą atsiimti paraišką gauti Egrifta, skirto lipodistrofija sergančių ŽIV infekuotų pacientų pilvo riebalų pertekliui šalinti, rinkodaros teisę.

Kas yra Egrifta?

Egrifta yra vaistas, kurio sudėtyje yra veikliosios medžiagos tesamorelino. Jis turėjo būti tiekiamas milteliais injekciniam tirpalui ruošti.

Kokiais atvejais buvo numatyta vartoti Egrifta?

Egrifta buvo numatyta vartoti ŽIV infekuotų pacientų, sergančių lipodistrofija – liga, dėl kurios pakinta kūno riebalų pasiskirstymas, – pilvo riebalų pertekliui šalinti. Yra žinoma, kad lipodistrofija serga kai kurie ŽIV infekuoti pacientai – dėl to tam tikrose kūno vietose netenkama riebalų, o kartais pilvo srityje susikaupia jų perteklius.

Kokio tikimasi Egrifta veikimo?

Egrifta sudėtyje esanti veiklioji medžiaga tesamorelinas panaši į žmogaus augimo hormoną išlaisvinantį faktorių (angl. *human growth hormone-releasing factor*, GRF) – organizmo hormoną, skatinantį augimo hormono išsiskyrimą. Įrodyta, kad augimo hormonas dalyvauja reguliuojant riebalinio audinio susidarymą ir skaidymą.

Tikimasi, kad tesamorelinas veiks panašiai kaip GRF, t. y. sukels augimo hormono išsiskyrimą, o šis hormonas savo ruožtu gerins riebalų skaidymą ŽIV infekuotų pacientų, sergančių lipodistrofija, organizme ir taip mažins pilvo riebalų perteklių.



Kokius dokumentus bendrovė pateikė kartu su paraiška?

Bendrovė pateikė dviejų pagrindinių tyrimų su 816 ŽIV infekuotų pacientų, turinčių pilvo riebalų perteklių, rezultatus. Atliekant tyrimus Egrifta buvo lyginamas su placebo (tiriamiesiems skiriamu preparatu be veikliosios medžiagos), o pagrindinis veiksmingumo rodiklis buvo pilvo riebalų kiekio pokytis po 26 gydymo savaičių.

Kuriuo paraiškos nagrinėjimo etapu paraiška atsiimta?

Paraiška atsiimta po to, kai CHMP buvo įvertinęs bendrovės pateiktus dokumentus ir parengęs klausimų sąrašus. CHMP įvertinus bendrovės atsakymus į paskutinius klausimus, vis dar buvo likę neišspręstų klausimų.

Kokia tuo metu buvo CHMP rekomendacija?

Remdamasis peržiūretais duomenimis ir bendrovės atsakymais į CHMP parengtų sąrašų klausimus, paraiškos atsiėmimo metu CHMP dar turėjo abejonių ir buvo priėmęs negalutinę nuomonę, kad Egrifta negali būti registruotas ŽIV infekuotų pacientų, sergančių lipodistrofija, pilvo riebalų pertekliui šalinti.

CHMP buvo susirūpinęs dėl to, kaip Egrifta bus vartojamas klinikinėje praktikoje, nes būtų sunku atskirti, ar pilvo riebalų perteklius atsirado dėl lipodistrofijos, ar dėl nutukimo. CHMP apsvairstė bendrovės pasiūlymą vaistą skirti tik pacientams, kurių pilvo riebalų perteklius viršija tam tikrą kiekį (apibrėžtą kaip kiekis, didesnis nei 130 cm²), tačiau nuspręsta, kad šiai ribinei vertei pagrįsti nepakanka įrodymų.

Be to, nors pagrindiniai tyrimai parodė, kad vartojant Egrifta pilvo riebalų kiekis sumažėjo, neįrodyta, kad šis sumažėjimas yra kliniškai reikšmingas kalbant apie naudą pacientų sveikatai. Taip pat suabejota rezultatų aktualumu, nes tarp pagrindiniuose tyrimuose dalyvavusių pacientų nebuvo ŽIV infekuotų Europos pacientų, turinčių mažesnį vidutinį kūno masės indeksą (KMI) ir mažiau pilvo riebalų nei tyrimuose dalyvavę pacientai.

Dėl saugumo CHMP atkreipė dėmesį, kad nemažos dalies Egrifta gydytų pacientų organizme padaugėjo baltymo, vadinamo insulino augimo faktoriumi 1 (angl. *insulin-like growth factor 1*, IGF-1). Didelis IGF-1 kiekis gali būti susijęs su padidinta vėžio rizika ir galimu diabetinės akių ligos pasunkėjimu, todėl Komitetas tai laikė svarbia saugumo problema. Be to, nepateikta ilgalaikio saugumo duomenų, nors numatyta, kad gydymas Egrifta turėtų būti ilgalaikis.

Todėl paraiškos atsiėmimo metu CHMP laikėsi nuomonės, kad Egrifta teikiama nauda nėra didesnė už jo keliamą riziką.

Kokias paraiškos atsiėmimo priežastis nurodė bendrovė?

Savo oficialiame laiške bendrovė nurodė, kad nusprendė atsiimti paraišką, nes CHMP manė, kad remdamasis pateiktais duomenimis Komitetas negali priimti sprendimo dėl teigiamo naudos ir rizikos santykio.

Laišką dėl paraiškos atsiėmimo galima rasti [čia](#).

Kokių pasekmių paraiškos atsiėmimas turės pacientams, dalyvaujantiems klinikiniuose tyrimuose arba labdaringo vartojimo programose?

Bendrovė CHMP pranešė, kad paraiškos atsiėmimas neturės jokių pasekmių pacientams, šiuo metu dalyvaujantiems klinikiniuose Egrifta tyrimuose arba labdaringo vartojimo programose.

Jeigu dalyvaujate klinikiniam tyrimui arba labdarinio vartojimo programoje ir pageidaujate gauti daugiau informacijos apie Jums taikomą gydymą, kreipkitės į Jus gydantį gydytoją.