



Klausimai ir atsakymai dėl rekomendacijos nesuteikti vaistinio preparato Sovrima rinkodaros teisės

Tarptautinis nepatentinis pavadinimas (INN): *idebenonas*

2008 m. liepos 24 d. Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komitetas (CHMP) priėmė neigiamą nuomonę, kurioje rekomenduoja nesuteikti Friedreicho ataksijai gydyti skirtų Sovrima 150 mg tablečių rinkodaros teisės. Paraišką rinkodaros teisei gauti pateikė bendrovė „Santhera Pharmaceuticals (Deutschland) GmbH“.

Pareiškėjas pateikė prašymą pakartotinai apsvarstyti nuomonę. Išnagrinėjęs šio prašymo pagrindą, CHMP pakartotinai apsvastė pirminę nuomonę ir 2008 m. lapkričio 20 d. patvirtino savo rekomendaciją nesuteikti rinkodaros teisės.

Kas yra Sovrima?

Sovrima – tai vaistas, kurio sudėtyje yra veikliosios medžiagos idebenono. Jį buvo numatyta tiekti tabletėmis (150 mg).

Kokiais atvejais buvo numatyta vartoti Sovrima?

Sovrima buvo numatyta vartoti Friedreicho ataksijai gydyti. Pradinėje paraiškoje šį vaistinių preparatą buvo numatyta skirti vaikams ir jauniems suaugusiems, taip pat suaugusiems, kuriems Friedreicho ataksija diagnozuota per pastaruosius 5 metus, ir kardiomiopatija (širdies raumens pažeidimu) sergantiems suaugusiems. Tačiau Komitetui pakartotinai nagrinėjant nuomonę, vaisto indikacija buvo susiaurinta iki vartojimo tik vaikams.

Friedreicho ataksija yra paveldima liga. Ja sergant pasireiškia daugybė vis stiprėjančių simptomų, įskaitant eisenos sutrikimus, nesugebėjimą koordinuoti judesius, raumenų silpnumą, kalbos sutrikimus, širdies raumens pažeidimą ir diabetą. Ši liga suaugusiems paprastai yra mirtina.

2004 m. kovo 8 d. Sovrima buvo priskirtas retiesiems vaistiniams preparatams Friedreicho ataksijai gydyti.

Veiklioji Sovrima medžiaga, idebenonas, kai kuriose Europos šalyse naudojama nuo praeito amžiaus 10-ojo dešimtmečio funkciniais sutrikimams (mąstysenos, mokymosi ir atminties sutrikimams) ir Alzheimerio ligai gydyti.

Kokio tikimasi Sovrima veikimo?

Friedreicho ataksija sergantys pacientai stokoja baltymo frataksino. Frataksinas svarbus energiją gaminančių ląstelių dalių gamybai. Kai organizme trūksta frataksino, sunkiai sutrinka energijos gamyba ir išsiskiria labai reaktyvus ir toksiškas deguonis. Šis labai reaktyvus deguonis pažeidžia smegenų, stuburo smegenų, taip pat širdies ir kasos ląsteles, taip sukeldamas ligos simptomus.

Veiklioji Sovrima medžiaga idebenonas yra antioksidantas. Manoma, kad ši medžiaga sustiprina energijos gamybą ląstelėse ir ko gero neutralizuoja labai reaktyvų deguonį. Tai turėjo apsaugoti ląsteles nuo pažeidimų ir sumažinti Friedreicho ataksijos simptomus.

Kokius dokumentus bendrovė pateikė CHMP kartu su paraiška?

Iš pradžių Sovrima poveikis buvo išbandytas su eksperimentiniais modeliais ir tik tada buvo tiriamas jo poveikis žmonėms.

Sovrima veiksmingumas buvo tiriamas viename pagrindiniame tyrime su 48 pacientais. Tyrime buvo lyginamas trijų skirtingų Sovrima dozių (5, 15 ir 40 mg kilogramui kūno svorio) ir placebo (gydomojo

poveikio neturinčio preparato) poveikis. Pagrindinis veiksmingumo rodiklis buvo deoksiguanozino koncentracijos, parodančios labai reaktyvaus deguonies pažeistas ląsteles, pokytis kraujyje. Tyrime taip pat stebėta, kaip Sovrima padeda kontroliuoti judesius (remiantis standartine ataksijos simptomų skale), kaip veikia pacientų kasdienę veiklą (vertinta pagal pacientų atsakymus į anketos klausimus) ir širdies funkciją.

Kokios buvo pagrindinės CHMP abejonės, dėl kurių jis rekomendavo nesuteikti rinkodaros teisės?

2008 m. liepos mėnesį CHMP nerimą kėlė tai, kad vieninteliame atliktame tyrime neįrodytas Sovrima veiksmingumas. Atsižvelgiant į pagrindinį veiksmingumo rodiklį ir į kitus vertintus kriterijus, neįrodyta, jog Sovrima būtų žymiai veiksmingesnis už placebo. CHMP taip pat nerimavo dėl to, jog nebuvo pateiktas paaiškinimas, kodėl vidutinė Sovrima dozė buvo veiksmingesnė už didesnę preparato dozę. Be to, papildomi mokslinės literatūros duomenys nebuvo pakankamai įtikinami ir neparodė Sovrima nuoseklios klinikinės naudos šiai ligai gydyti.

2008 m. lapkričio mėnesį dar kartą išnagrinėjęs savo nuomonę, CHMP nebekėlė vidutinės Sovrima dozės veiksmingumo problemos. Tačiau Komitetas vis dar abejojo dėl kitų dalykų. Komitetui nerimą kėlė tai, jog bendrovės pateikta informacija neįrodė, kad Sovrima yra veiksmingesnis vaikams nei iš pradžių pasiūlytai platesnei pacientų grupei. CHMP pastebėjo, kad būtų naudinga turėti daugiau informacijos apie Sovrima poveikį stabdant vaikų širdies ligos progresavimą.

Todėl tuo metu CHMP laikėsi nuomonės, kad Sovrima teikiama nauda gydant Friedreicho ataksiją nėra didesnė už keliamą riziką. CHMP rekomendavo nesuteikti Sovrima rinkodaros teisės.

Kokios pasekmės pacientams, dalyvaujantiems Sovrima klinikiniuose tyrimuose arba naudojimo labdaros tikslais programose?

Bendrovė informavo CHMP, kad paraiškos atsiėmimas neturės jokio poveikio šiuo metu klinikiniuose Sovrima tyrimuose dalyvaujantiems pacientams. Bendrovė Komitetui taip pat pranešė, kad Sovrima paraiškos atsiėmimas neturės jokių pasekmių jo naudojimo labdaros tikslais programose dalyvaujantiems pacientams.

Jei dalyvaujate klinikiniuose tyrimuose arba preparato naudojimo labdaros tikslais programoje ir pageidaujate gauti išsamesnės informacijos apie gydymą, kreipkitės į Jus gydantį gydytoją.

Ar keičiasi idebenono skyrimas funkciniam sutrikimams ir Alzheimerio ligai gydyti?

Idebenono skyrimo pagal indikaciją, kuriai šio vaisto rinkodaros teisė jau išduota, tvarka nesikeičia ir vaisto vartojimo nauda bei rizika lieka nepakitusi.