



Mistoqsija u tweġiba dwar ir-rakkomandazzjoni għal rifjut tal-awtorizzazzjoni għat-tqeghid fis-suq għal Sovrima

Denominazzjoni Komuni Internazzjonali (DKI): *idebenone*

Fl-24 ta' Lulju 2008, il-Kumitat għall-Prodotti Mediciċinali għall-Użu mill-Bniedem (CHMP) adotta opinjoni negattiva, fejn irrakkomanda r-rifjut tal-awtorizzazzjoni għat-tqeghid fis-suq tal-prodott mediciċinali Sovrima pilloli ta' 150 mg, maħsub għat-trattament tal-atassija ta' Friedreich. Il-kumpanija li applikat għall-awtorizzazzjoni hija Santhera Pharmaceuticals (Deutschland) GmbH.

L-applikant talab għal eżami mill-ġdid tal-opinjoni. Wara li kkunsidra r-raġunijiet għal din it-talba, is-CHMP reġa' eżamina l-opinjoni inizjali u kkonferma r-rifjut tal-awtorizzazzjoni għat-tqeghid fis-suq fl-20 ta' Novembru 2008.

X'inhu Sovrima?

Sovrima huwa mediciċina li fiha s-sustanza attiva idebenone.. Hija disponibbli f'pilloli (150 mg).

Għal xiex kien mistenni li jintuża Sovrima?

Sovrima kien mistenni jintuża għat-trattament tal-atassija ta' Friedreich. Fl-applikazzjoni inizjali, kien maħsub li jintuża fit-tfal u ż-żgħażaġh, kif ukoll fl-adulti li l-marda tagħhom kienet għet dijanjostikata fl-aħħar hames snin u fl-adulti bil-kardjomjopatija (ħsara fil-muskoli tal-qalb). Madankollu, matul l-eżami mill-ġdid tal-opinjoni, l-użu maħsub tal-mediciċina gie ristrett għat-tfal biss.

L-atassija ta' Friedreich hija marda li tintiret. Għandha diversi sintomi li bil-mod jaggravaw, inkluż id-diffikultà fil-mixi, l-inkapaċità ta' koordinazzjoni ta' movimenti, dgħjufija tal-muskoli, problemi fil-kapaċità tad-diskors, ħsara fil-muskoli tal-qalb u d-dijabete. Normalment fl-adulti hija fatali.

Sovrima gie klassifikat bħala prodott mediciċinali orfni fit-8 ta' Marzu 2004 għall-atassija ta' Friedreich. Is-sustanza attiva f' Sovrima, idebenone, ilha disponibbli f' xi pajjiżi Ewropej mid-disgħinijiet għal disturbi konjittivi (problemi fil-kapaċità tal-ħsieb, it-tagħlim u l-memorja) u għall-marda ta' Alzheimer.

Kif inhu mistenni li jaħdem Sovrima?

Pazjenti bl-atassija ta' Friedreich għandhom insuffiċjenza tal-proteina msejha frataxin. Frataxin għandu rwol importanti fil-produzzjoni tal-partijiet taċ-ċelloli li jipproduċu l-enerġija. In-nuqqas ta' frataxin jikkawża l-indeboliment gravi fil-produzzjoni tal-enerġija u jiġu prodotti forom tossiċi u reattivi hafna ta' ossigenu. Dawn il-form reattivi hafna tal-ossigenu jagħmlu l-ħsara fil-moħh, is-sinla tad-dahar u n-nervituri, kif ukoll il-qalb u l-pankreas, biex b'hekk jikkawżaw is-sintomi tal-marda.

Is-sustanza attiva f' Sovrima, idebenone, hija aġent antiossidanti. Huwa mistenni li jtejjeb il-produzzjoni tal-enerġija fiċ-ċelloli u possibbilment jinnewtralizza l-forom reattivi hafna tal-ossigenu. Dan huwa mistenni li jipproteġi ċ-ċelloli mill-ħsara u li jnaqqas is-sintoma tal-atassija ta' Friedreich.

X'dokumentazzjoni pprezentat il-kumpanija għas-sostenn tal-applikazzjoni tagħha lis-CHMP?

Għall-ewwel, l-effetti ta' Sovrima ġew ittestjati f' mudelli sperimentali qabel ma ġew studjati fuq il-bniedem.

L-effikaċja ta' Sovrima għet studjata fi studju ewlieni li kien jinvolvi 48 pazjent. L-istudju qabel l-effikaċja ta' tliet dozi differenti ta' Sovrima (5, 15 u 40 mg għal kull kilogramma tal-piż tal-ġisem)

ma' dik ta' placebo (trattament finta) fuq medda ta' sitt xhur. Il-kejl ewlieni tal-effikaċja kien il-bidla fil-livell ta' sustanza fid-demem imsejha deossigwanosina (deoxyguanosine), li hija indikatur tal-hsara fiċ-ċelloli kkawzata minn forom reattivi hafna tal-ossigenu. L-istudju eżamina wkoll l-effikaċja ta' Sovrima fil-kontroll ta' movimenti, kif imkejjel fuq skali standard għal sintomi tal-atassija, l-impatt tiegħu fuq l-attivitàjiet ta' kuljum imkejjel peremzz ta' kwestjonarju, u l-effett tiegħu fuq il-funzjoni tal-qalb.

X'kien it-thassib ewlieni li wassal lis-CHMP sabiex jirrakkomanda r-rifjut tal-awtorizzazzjoni għat-tqeghid fis-suq?

F' Lulju 2008, is-CHMP kien imhasseb li l-effikaċja ta' Sovrima ma kinitx murija fl-istudju li twettaq. F'dak li għandu x'jaqsam mal-kejl ewlieni tal-effikaċja u parametri evalwati oħra, Sovrima ma weriex titjib sinifikanti meta mqabbel mal-placebo. Is-CHMP kien imhasseb ukoll dwar kif ma kienx hemm spjegazzjoni ċara għall-fatt li d-doża intermedja ta' Sovrima dehret li kienet iktar effikaċi mid-doża oghla. Barra minn hekk, it-tagħrif ta' sostenn mil-litteratura xjentifika kien dgħajjed u ma weriex benefiċċju kliniku konsistenti ta' Sovrima għal din il-marda.

F' Novembru 2008, wara l-eżami mill-ġdid, is-CHMP irtira t-thassib tiegħu dwar id-doża intermedja ta' Sovrima. Il-Kumitat zamm it-thassib l-ieħor tiegħu. Barra minn hekk, is-CHMP kien imhasseb li t-tagħrif ipprovdut mill-kumpanija ma weriex li Sovrima kien iktar effikaċi fit-tfal milli fil-grupp usa' ta' pazjenti li kien gie propost qabel. Is-CHMP innota li kien ikun utli li jkun hemm iktar tagħrif dwar l-effetti ta' Sovrima fuq il-prevenzjoni tal-mard tal-qalb milli jmur għall-aġar fit-tfal.

Għalhekk, f'dak il-punt, is-CHMP kien tal-opinjoni li l-benefiċċji ta' Sovrima fit-trattament tal-atassija ta' Friedreich ma kinix ikbar mir-riskji. Għaldaqstant, is-CHMP rrakkomanda li Sovrima ma jinghatax l-awtorizzazzjoni għat-tqeghid fis-suq.

X'inhuma l-konsegwenzi tar-rifjut għal daww il-pazjenti li jkunu qeghdin jagħmlu provi kliniċi jew programmi ta' użu b'kumpassjoni bl-użu ta' Sovrima?

Il-kumpanija għarrfet lis-CHMP li ma kienx hemm konsegwenzi għall-pazjenti li kienu qed jiehdu sehem fi studji kliniċi. Il-kumpanija infurmat lis-CHMP ukoll li ma kienx hemm konsegwenzi għall-programmi msemmija tal-pazjent jew programma ta' użu b'kumpassjoni b'Sovrima.

Jekk inti qed tiehu sehem fi studju kliniku jew fi programm ta' użu b'kumpassjoni u tehtieg iżjed tagħrif dwar it-trattament tiegħek, ikkuntattja lit-tabib li jkun qed jagħtik dan it-trattament.

X'qiegħed jiġri b'idebenone għal disturbi konjittivi u l-marda ta' Alzheimer?

Ma hemm l-ebda konsegwenza fuq l-użu ta' idebenone fl-indikazzjonijiet eżistenti, fejn il-bilanċ bejn il-benefiċċji u r-riskji jibqa' invarjat.