



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

25 czerwca 2021 r.
EMA/354062/2021EMA/382755/2021
EMA/H/C/002154/II/0069

Wycofanie wniosku o zmianę pozwolenia na dopuszczenie do obrotu dotyczącego produktu Esbriet (pirfenidon)

Firma Roche Registration GmbH wycofała wniosek o zastosowanie leku Esbriet w leczeniu pacjentów ze **śródmiąższową chorobą płuc**, której nie można zaklasyfikować.

Firma wycofała wniosek w dniu 19 maja 2021 r.

Co to jest Esbriet i w jakim celu **się** go stosuje?

Esbriet jest lekiem stosowanym w leczeniu **łagodnej do umiarkowanej postaci idiopatycznego włóknienia płuc** (ang. idiopathic pulmonary fibrosis, IPF) u osób dorosłych. Idiopatyczne **włóknienie płuc** to choroba przewlekła, w przebiegu której dochodzi do **stałego** wytwarzania w **płucach** twardej tkanki **włóknistej**, co jest **przyczyną przewlekłego kaszlu**, **częstych zakażeń płuc** i **ciężkiej duszności**. Określenie „idiopatyczne” oznacza, że przyczyna choroby jest nieznana.

Lek Esbriet jest dopuszczony do obrotu w UE od lutego 2011 r.

Lek zawiera substancję czynną pirfenidon i jest dostępny w postaci kapsułek i tabletek do przyjmowania doustnego.

Więcej informacji na temat obecnych **wskazań do stosowania leku Esbriet** znajduje się na stronie internetowej Agencji: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/esbriet.

O **jaką zmianę wnioskowała** firma?

Firma wnioskowała o rozszerzenie stosowania leku Esbriet w leczeniu pacjentów ze **śródmiąższową chorobą płuc**, której nie można zaklasyfikować. **Śródmiąższowa choroba płuc** (ang. interstitial lung disease, ILD) to grupa chorób **powodujących bliznowacenie w płucach**. U **około 10% pacjentów** choroba ma cechy, które uniemożliwiają jej sklasyfikowanie jako **swoistego podzbioru ILD**, a zatem jest określana jako **nieklasyfikowana ILD** (ang. *unclassifiable ILD*, UILD).

Jak **działa** produkt Esbriet?

Mechanizm działania pirfenidonu, substancji czynnej leku Esbriet, nie jest w **pełni poznany**, ale wykazano, że **zmniejsza on wytwarzane fibroblastów i innych substancji biorących udział w**



wytwarzaniu tkanki włóknistej w procesie naprawczym tkanek, dzięki czemu spowalnia postęp choroby u pacjentów z IPF.

W przypadku choroby **śródmiaższowej płuc**, której nie można sklasyfikować, produkt Esbriet powinien działać w taki sam sposób, jak w istniejącym wskazaniu.

Jaką dokumentację przedstawiła firma na poparcie wniosku?

Firma przedstawiła wyniki badania **głównego** z udziałem 253 pacjentów z UILD, którym podawano Esbriet lub placebo (leczenie pozorowane). Głównym kryterium oceny skuteczności była zmiana czynności płuc u pacjentów po 24 tygodniach leczenia określana na podstawie pomiaru natężonej pojemności życiowej (ang. forced vital capacity, FVC). FVC to maksymalna ilość powietrza, **jaką** pacjent jest w stanie uwolnić przy maksymalnym wysiłku po wzięciu **głębokiego** wdechu. Parametr ten zmniejsza się wraz z postępowaniem choroby.

Na jakim etapie **znajdowała się** ocena w momencie wycofania wniosku?

Wniosek wycofano po przeprowadzeniu przez Europejską Agencję Leków oceny wstępnych informacji przedłożonych przez firmę i przygotowaniu pytań do firmy. Firma wycofała wniosek jeszcze przed udzieleniem odpowiedzi na pytania.

Jakie zalecenia **wydała** wówczas Agencja?

W momencie wycofania wniosku Agencja zgłosiła pewne **zastrzeżenia** na podstawie przeglądu dostępnych informacji i wstępna opinia wskazywała, że produkt Esbriet nie może być zatwierdzony w leczeniu nieklasyfikowanej **śródmiaższowej** choroby płuc. W szczególności Agencja miała wątpliwości co do rzetelności danych i czasu trwania badania **głównego**. Agencja nie zgodziła się również z brzmieniem proponowanego wskazania.

Dlatego też w momencie wycofania wniosku zdaniem Agencji korzyści ze stosowania produktu Esbriet w leczeniu UILD nie **przewyższały** ryzyka.

Jakie przyczyny wycofania wniosku **podała** firma?

W swoim **piśmie** powiadamiającym Agencję o wycofaniu wniosku firma oświadczyła, że decyzja została **podjęta** na podstawie wymogu EMA dotyczącego dalszego uzasadnienia i danych dotyczących stosowania produktu Esbriet w proponowanym wskazaniu.

Jakie **są** skutki wycofania dla pacjentów **uczestniczących** w badaniach klinicznych?

Firma powiadomiła Agencję, że nie ma żadnych skutków dla pacjentów obecnie biorących udział w badaniach klinicznych z użyciem produktu Esbriet.

W przypadku uczestnictwa w badaniach klinicznych i potrzeby uzyskania **dokładniejszych** informacji o leczeniu należy skontaktować się z lekarzem prowadzącym badanie.

Jakie **działania** podejmuje **się** w **związku** ze stosowaniem produktu Esbriet w leczeniu innych chorób?

Nie ma **żadnych** skutków stosowania produktu Esbriet w leczeniu IPF.