



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

18 grudnia 2010 r.
EMA/152214/2010
EMA/H/C/1103

Pytania i odpowiedzi

Wycofanie wniosku o pozwolenie na dopuszczenie preparatu Cerepro (sitimagene ceradenovec) do obrotu

W dniu 8 marca 2010 r. firma Ark Therapeutics oficjalnie powiadomiła Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) o zamiarze wycofania wniosku o dopuszczenie preparatu Cerepro do obrotu, który miał być stosowany, w skojarzeniu z solą sodową gancyklowiru, w leczeniu pacjentów z operacyjnym, znacznie zaawansowanym glejakiem.

Co to jest Cerepro?

Cerepro to koncentrat do sporządzania roztworu do wstrzykiwań zawierający substancję czynną sitimagene ceradenovec.

Preparat Cerepro został opracowany jako rodzaj leku do zaawansowanego leczenia zwany produktem inżynierii tkankowej. Jest to rodzaj leku, który działa poprzez dostarczanie genów do organizmu.

W jakim celu miał być stosowany preparat Cerepro?

Preparat Cerepro zamierzano stosować w skojarzeniu z lekiem zwanym solą sodową gancyklowiru w leczeniu glejaków o znacznym stopniu zaawansowania u pacjentów, w przypadku których istnieją wskazania do zabiegu chirurgicznego. Glejak to rodzaj nowotworu mózgu, wywodzący się z komórek „gleju” (komórki, które otaczają i chronią komórki nerwowe).

W dniu 6 lutego 2002 r. preparat Cerepro został oznaczony jako lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach).

Jakie było oczekiwane działanie preparatu Cerepro?

Substancja czynna preparatu Cerepro, sitimagene ceradenovec, jest rodzajem wirusa, który został zmodyfikowany tak, aby mógł przenosić gen dla białka zwanego kinazą tymidynową, znajdującego się w organizmie. W przypadku preparatu Cerepro tym wirusem jest adenowirus, który został opracowany w sposób uniemożliwiający mu namnażanie się oraz wywoływanie infekcji u ludzi.



Po wstrzyknięciu preparatu Cerepro do tkanki mózgowej podczas operacji chirurgicznej, zmodyfikowany wirus jest wychwytywany przez komórki w okolicy wstrzyknięcia. Następnie komórki rozpoczynają wytwarzanie kinazy tymidynowej. Białko to miało za zadanie pomóc w przemianie soli sodowej gancyklowiru w formę zdolną do niszczenia komórek w fazie podziału. Komórki, które miały być niszczone przez sól sodową gancyklowiru, były głównie komórkami nowotworowymi w fazie szybkiego podziału. Zwykle komórki nerwowe i komórki pozanowotworowe miały być mniej narażone na działanie.

Jaka dokumentacja została przedstawiona przez firmę na poparcie wniosku?

Przed rozpoczęciem badań z udziałem ludzi działanie preparatu Cerepro testowano w modelach eksperymentalnych. Firma przedstawiła również wyniki jednego badania głównego z udziałem 251 pacjentów z glejakiem w stanie nadającym się do operacji. W badaniu tym porównywano efekt zastosowania standardowego leczenia z takim samym leczeniem uzupełnionym o preparat Cerepro i sól sodową gancyklowiru. Główną miarą skuteczności był czas przeżycia pacjentów bez konieczności dodatkowych leczeń przedłużających czas przeżycia. W badaniu oceniano również czas przeżycia pacjentów.

Na jakim etapie znajdowała się ocena w momencie wycofania wniosku?

Ocena wniosku została zakończona, a CHMP wydał negatywną opinię. Firma wystąpiła z wnioskiem o powtórny weryfikację negatywnej opinii, lecz wycofała wniosek przed jej zakończeniem.

Jakie zalecenia wydał wówczas CHMP?

Jako że preparat ChondroCelect należy do grupy leków do zaawansowanego leczenia, jego ocenę przeprowadził Komitet ds. Terapii Zaawansowanych (CAT). Biorąc pod uwagę ocenę przeprowadzoną przez CAT, CHMP – opierając się na wynikach badania głównego zawierających główną miarę skuteczności - uznał, że preparat Cerepro nie wykazał wystarczającej skuteczności. Ostatecznie preparat Cerepro skojarzono z podwyższonym ryzykiem wystąpienia poważnych działań niepożądanych, takich jak niedowład połowiczny (paraliż jednej strony ciała) i napady padaczkowe. Te działania niepożądane wzbudziły obawy, w szczególności ze względu na brak dowodów na skuteczność preparatu.

W tym momencie, z powodu braku dowodów na skuteczność, CHMP był zdania, że korzyści ze stosowania preparatu Cerepro nie przewyższają związanego z nim ryzyka i odmówił udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu.

Jakie przyczyny wycofania wniosku podała firma?

Pismo od firmy powiadamiające Agencję o wycofaniu wniosku znajduje się [tutaj](#).

Jakie są skutki pociąga za sobą wycofanie wniosku dla pacjentów uczestniczących w badaniach klinicznych lub w programach współuczucia?

Firma poinformowała CHMP, że w momencie wycofania nie prowadziła żadnych badań klinicznych ani formalnych programów współuczucia z użyciem preparatu Cerepro.

Streszczenie opinii Komitetu ds. Sierocych Produktów Leczniczych dotyczące preparatu Cerepro znajduje się [tutaj](#).