



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

18. marca 2010
EMA/152214/2010
EMA/H/C/1103

Otázky a odpovede

Stiahnutie žiadosti o povolenie na uvedenie na trh pre liek Cerepro (sitimagén ceradenovec)

Dňa 8. marca 2010 Spoločnosť Ark Therapeutics oficiálne oznámila Výboru pre lieky na humánne použitie (CHMP) rozhodnutie stiahnuť svoju žiadosť o povolenie na uvedenie lieku Cerepro na trh, ktorý sa mal používať so sodnou soľou gancikloviru na liečbu operovateľného gliómu vysokého stupňa.

Čo je liek Cerepro?

Cerepro je koncentrát na injekčný roztok, ktorý obsahuje účinnú látku sitimagén ceradenovec.

Liek Cerepro bol vyvinutý ako druh lieku inovatívnej liečby označovaný ako liek na génovú terapiu. Ide o druh lieku, ktorý účinkuje tým, že telu dodáva gény.

Aké bolo predpokladané použitie lieku Cerepro?

Liek Cerepro sa mal používať v kombinácii s liekom nazývaným sodná soľ gancikloviru na liečbu gliómu vysokého stupňa u pacientov, v prípade ktorých možno uskutočniť operáciu. Glióm je typ mozgového tumoru, ktorý vzniká v gliových bunkách (bunky, ktoré obklopujú a podporujú nervové bunky).

Liek Cerepro bol 6. februára 2002 označený za liek na ojedinelé ochorenia na liečbu gliómu vysokého stupňa.

Akým spôsobom by mal liek Cerepro účinkovať?

Účinná látka lieku Cerepro, sitimagén ceradenovec, je typ vírusu, ktorý bol zmenený tak, aby mohol vnieť do tela gén pre proteín tymidínkináza. Vírus v lieku Cerepro je adenovírus, ktorý bol vytvorený tak, aby nemohol vytvárať vlastné kópie, a preto v ľudskom tele nemôže spôsobovať infekcie.

Keď sa liek Cerepro počas operácie injekčne podá do mozgu, modifikovaný vírus prijímú bunky v okolí miest podania injekcie. Tieto bunky potom začnú vytvárať tymidínkinázu. Tento enzým mal pomáhať zmeniť sodnú soľ gancikloviru na formu, ktorá môže zabíjať deliace sa bunky. Bunky, ktoré mala sodná



soľ ganciclovirzabíjať, boli predovšetkým rýchlo sa deliace rakovinové bunky. Očakávalo sa, že normálne nervové bunky a bunky mimo oblasti zasiahnutej nádorom budú ovplyvnené v menšej miere.

Akou dokumentáciou podložila spoločnosť svoju žiadosť pred výborom CHMP?

Účinky lieku Cerepro sa najprv skúmali na pokusných modeloch a potom na ľuďoch. Spoločnosť takisto predložila výsledky z jednej hlavnej štúdie zahrňujúcej 251 pacientov s operovateľným gliómom.

V štúdiu sa porovnávali účinky pridania lieku Cerepro a sodnej soli gancikloviru k štandardnej liečbe s účinkami štandardnej liečby samotnej. Hlavnou mierou účinnosti bol čas, počas ktorého pacienti nepotrebovali dodatočnú liečbu na predĺženie života. V štúdiu sa sledoval aj čas, ako dlho pacienti žili.

V akej fáze hodnotenia bola žiadosť v čase stiahnutia?

Hodnotenie bolo ukončené a výbor CHMP prijal negatívne stanovisko. Spoločnosť požiadala o opätovné preskúmanie negatívneho stanoviska, ktoré však v čase stiahnutia žiadosti spoločnosťou ešte nebolo ukončené.

Aké bolo v tom čase odporúčanie výboru CHMP?

Vzhľadom na to, že liek Cerepro je liekom na inovatívnu liečbu, zhodnotil ho Výbor pre inovatívnu liečbu (CAT). Vzhľadom na hodnotenie, ktoré vykonal výbor CAT, dospel výbor CHMP k záveru, že na základe výsledkov hlavnej štúdie vrátane hlavnej miery účinnosti sa nepreukázala účinnosť lieku Cerepro. Liek Cerepro bol spájaný so zvýšeným rizikom vzniku vážnych vedľajších účinkov, ktorými sú napríklad hemiparéza (ochrnutie jednej polovice tela) a záchvaty. Tieto vedľajšie účinky boli predmetom výhrad, a to vzhľadom na to, že účinnosť lieku nebola dokázaná.

V tom čase, vzhľadom na neexistenciu dôkazov o účinnosti, sa výbor CHMP domnieval, že prínos lieku Cerepro nebol väčší ako jeho riziká a odporučil zamietnuť povolenie na jeho uvedenie na trh.

Aké dôvody na stiahnutie žiadosti uviedla spoločnosť?

List spoločnosti oznamujúci agentúre stiahnutie žiadosti sa nachádza [tu](#).

Aké sú dôsledky tohto stiahnutia žiadosti pre pacientov, ktorí sa zúčastňujú na klinických skúškach alebo na programoch na použitie lieku v naliehavých situáciách?

Spoločnosť informovala výbor CHMP, že v čase stiahnutia žiadosti neprebíhali žiadne klinické skúšky ani programy na použitie lieku Cerepro v naliehavých prípadoch.

Súhrn stanoviska Výboru pre lieky na ojedinelé ochorenia k lieku Cerepro sa nachádza [tu](#).