

Reuniunea Comitetului EMA pentru medicamente de uz uman (Committee for Medicinal Products for Human Use = CHMP) din 25-28 martie 2019

În cadrul reuniunii sale din luna martie 2019, Comitetul pentru medicamente de uz uman (CHMP) a concluzionat cu privire la următoarele:

Formularea opiniei pozitive cu privire la medicamente propuse spre autorizare și recomandarea de autorizare a acestora: un medicament.

Este vorba despre autorizarea condiționată¹ a medicamentului **Zynteglo** (celule autologe CD34⁺ care codifică gena β^{A-T87Q} -globină), medicament pentru terapie avansată² (advanced therapy medicinal product = ATMP) indicat în tratarea beta-talasemiei, o boală ereditară rară care provoacă anemie severă. Medicamentul Zynteglo este indicat în tratamentul pacienților adulți și adolescenți cu vârsta de 12 ani și peste, pentru care gestionarea bolii impune transfuzii regulate și care nu beneficiază de donatori compatibili în vederea efectuării unui transplant de celule stem.

Dat fiind faptul că medicamentul Zynteglo răspunde unei necesități medicale neacoperite, acesta a beneficiat de sprijinul care se acordă în cadrul Schemei PRIME³, platforma EMA pentru dialog precoce și intens cu dezvoltatorii de noi medicamente cu beneficii deosebite. Interacțiunea dintre compania dezvoltatoare a noului medicament și autoritatea europeană de reglementare a condus la consolidarea documentației depuse în susținerea cererii de autorizare, ceea ce a permis evaluarea accelerată⁴ a acestuia, în numai 150 de zile, cel mai scurt timp de evaluare de până acum pentru un medicament pentru terapie avansată. În cursul dezvoltării sale, medicamentul Zynteglo fusese desemnat ca medicament orfan⁵.

¹ Tip de autorizație de punere pe piață care se poate acorda unor medicamente în situațiile în care solicitantul de autorizare nu este în măsură să furnizeze date complete privind eficacitatea și siguranța în condiții normale de utilizare, din cauză că afecțiunea tratată este rară sau deoarece colectarea de informații complete nu este posibilă sau nu este etică.

² Medicament de uz uman obținut pe bază de gene, celule sau inginerie tisulară.

³ PRiority MEdicines = program lansat de Agenția Europeană a Medicamentului (EMA) pentru optimizarea susținerii dezvoltării de medicamente care vizează necesități medicale neacoperite. Sistem voluntar, bazat pe interacțiune sporită și dialog timpuriu cu dezvoltatorii de medicamente cu potențial, pentru îmbunătățirea planurilor de dezvoltare și accelerarea evaluării, în scopul punerii lor mai devreme la dispoziția pacienților.

⁴ Proces de evaluare rapidă a medicamentelor de interes major pentru sănătatea publică, în cadrul procedurii centralizate, în special pentru medicamentele care reprezintă inovații terapeutice. De obicei, durata unei evaluări accelerate este de 150 de zile și nu 210, cât durează evaluarea documentației de autorizare în cazul celorlalte medicamente.

⁵ Medicament pentru diagnosticarea, prevenirea sau tratarea unor stări medicale care pun viața în pericol sau a unor afecțiuni grav și cronic debilitante, rare (care afectează până la 5 din 10 000 de persoane din Uniunea Europeană) sau medicament cu potențial redus de profit, insuficient pentru justificarea investițiilor în cercetare și dezvoltarea acestuia. Așa cum prevede procedura la momentul aprobării, orice desemnare ca medicament orfan urmează analizată de Comitetul EMA pentru medicamente orfane (Committee for Orphan Medicinal Products =

Recomandarea de extensie a indicației terapeutice privitor la trei medicamente, și anume pentru medicamentele **Innovid, Mozobil și Revlimid**.

Re-evaluarea opiniei privitoare la medicamentele care conțin acid gras omega-3

CHMP și-a confirmat opinia referitoare la lipsa de eficacitate a medicamentelor pe bază de acid gras omega-3 și care conțin o combinație de ester etilic al acidului eicosapentaenoic (EPA) și acid docosahexaenoic (DHA) în ceea ce privește prevenirea agravării problemelor cardiovasculare la pacienții care au suferit un infarct miocardic. Această opinie constituie rezultatul unei re-evaluări solicitate de unele companii care comercializează medicamentele respective, în urma formulării opiniei inițiale a CHMP din luna decembrie 2018.

COMP), stabilindu-se astfel dacă informațiile avute la dispoziție permit menținerea statutului de orfan al medicamentului în cauză și acordarea perioadei de 10 ani de exclusivitate pe piață pentru medicamentul respectiv.