

## **Reuniunea Comitetului EMA pentru medicamente de uz uman (Committee for Medicinal Products for Human Use = CHMP) din 27-30 ianuarie 2020**

În cadrul reuniunii sale din luna ianuarie 2020, Comitetul pentru medicamente de uz uman (CHMP) a concluzionat cu privire la următoarele:

**Formularea opiniei pozitive în urma evaluării unor medicamente propuse spre autorizare și recomandarea de autorizare a acestora:** 15 medicamente, după cum urmează:

- Medicamentul **Givlaari\*** (*givosiran*), autorizat în cadrul primului tratament al porfiriei hepatice acute (PHA) la adulți și adolescenți în vârstă de 12 ani și peste.

Porfiriea hepatică acută este o boală genetică rară, care pune viața în pericol și care determină apariția unor episoade acute de durere abdominală severă, vărsături și tulburări ale sistemului nervos precum convulsii, depresie și anxietate.

Acest medicament a fost desemnat ca medicament orfan în cursul dezvoltării sale. La momentul autorizării, deciziile de desemnare ca medicament orfan sunt re-analizate de Comitetul EMA pentru medicamente orfane (Committee for Orphan Medicinal Products = COMP), stabilind astfel dacă informațiile de până acum permit menținerea statutului de orfan al medicamentului și acordarea perioadei de 10 ani de exclusivitate pe piață pentru acest medicament.

Medicamentul Givlaari a fost inclus în programul PRIME, platformă a EMA pentru facilitarea dialogului timpuriu și mai intens cu dezvoltatorii de medicamente noi și cu potențial terapeutic promițător, concepute pentru a răspunde unor nevoi medicale neacoperite. Interacțiunea astfel facilitată a permis elaborarea unui dosar de cerere de autorizare mai solid, care să demonstreze elocvent beneficiile și riscurile medicamentului, și care a permis evaluarea accelerată a medicamentului.

- Medicamentul **Rybelsus** (*semaglutidă*), indicat în tratamentul adulților cu diabet zaharat de tip 2 insuficient controlat, în vederea îmbunătățirii controlului glicemic și ca adjuvant pentru dietă și exerciții fizice. Acest medicament constituie primul tratament pe bază de agonist al receptorilor peptidici de tip glucagon (GLP-1) - o clasă de medicamente non-insulinice care se adresează persoanelor cu diabet zaharat de tip 2. Acest medicament este conceput pentru utilizare orală, oferind astfel pacienților o nouă opțiune terapeutică și care nu presupune administrare injectabilă.
- Medicamentul **Vaxchora** (vaccin recombinant, viu, cu administrare orală), indicat ca profilaxie împotriva holerei, o boală foarte gravă cauzată de bacteria *Vibrio cholerae*, la adulți și copii.
- Medicamentul **Liumjev** (insulină lispro), indicat pentru tratarea diabetului zaharat la adulți.

- Medicamentele **Nilemdo** (*acid bempedoic*) și **Nustendi** (*acid bempedoic/ezetimib*), indicate în tratamentul hipercolesterolemiei primare (nivel sanguin ridicat de colesterol fără cauză identificabilă) și dislipidemiei mixte (niveluri sanguine anormale de lipide).
- Medicamentul **Nubeqa** (*darolutamidă*), indicat în tratamentul cancerului de prostată.
- Medicamentul **Staquis** (*crisaborol*), indicat pentru tratarea dermatitei atopice.
- Medicamentul biosimilar<sup>1</sup> **Ruxience** (*rituximab*), indicat în tratamentul limfomului non-Hodgkin, leucemiei limfocitare cronice, artritei reumatoide, granulomatozei cu poliangiită și poliangiitei microscopice și a *Pemphigus vulgaris*.
- Medicamente generice<sup>2</sup>:
  - **Azacitidine betapharm** (*azacitidină*) și **Azacitidine Mylan** (*azacitidină*), indicate pentru tratarea sindroamelor mielodisplazice, leucemiei mielomonocitice cronice și leucemiei mieloide acute;
  - **Arsenic trioxide Mylan** (*trioxid de arsenic*), indicat în tratamentul leucemiei promielocitice acute;
  - **Cinacalcet Accordpharma** (*cinacalcet*), indicat pentru tratarea hiperparatiroidismului secundar, carcinomului paratiroidian și hiperparatiroidismului primar.
- Medicamente autorizate pe baza unei cereri hibride de autorizare<sup>3</sup>:
  - **Budesonide/Formoterol Teva Pharma B.V.** (*budesonidă/formoterol fumarat dihidrat*), indicat în tratamentul astmului și bolilor pulmonare obstructive cronice;
  - **Trepulmix** (*treprostinil sodic*), indicat pentru tratarea hipertensiunii pulmonare cronice tromboembolice.

Acest medicament a fost desemnat ca medicament orfan în cursul dezvoltării sale. La momentul autorizării, deciziile de desemnare ca medicament orfan sunt re-analizate de Comitetul EMA pentru medicamente orfane (Committee for Orphan Medicinal Products = COMP), stabilind astfel dacă informațiile de până acum permit menținerea statutului de orfan al medicamentului și acordarea perioadei de 10 ani de exclusivitate pe piață pentru acest medicament.

**Aprobarea unor cereri de extensie a indicațiilor terapeutice și emiterea recomandărilor în acest sens:** șase medicamente, după cum urmează:

---

<sup>1</sup> Medicament similar cu un medicament biologic deja autorizat.

<sup>2</sup> Medicament dezvoltat astfel încât să fie același cu un medicament deja autorizat. Autorizarea acestor medicamente se bazează pe date privind eficacitatea și siguranța provenite din studiile efectuate asupra medicamentului deja autorizat. Medicamentele generice se pot pune pe piață numai după expirarea perioadei de exclusivitate pe piață (10 ani) de care beneficiază medicamentul original.

<sup>3</sup> Cererile hibride se bazează în parte pe rezultatele testelor pre-clinice și studiilor clinice efectuate cu un medicament de referință deja autorizat și, în parte, pe date noi.

- Medicamentul **Ameluz** - Noua indicație aprobată în urma avizului pozitiv al CHMP și care urmează să intre în vigoare după emiterea deciziei CE:  
„Tratamentul keratozei actinice de severitate ușoară până la moderată (grad Olsen 1 -2; vezi pct. 5.1) și al cancerului de câmp la adulți.  
Tratamentul carcinomului celular bazic superficial și/sau nodular impropriu pentru tratamentul chirurgical din cauza unei posibile morbidități asociate cu tratamentul și/sau a unui rezultat cosmetic nesatisfăcător la adulți.”
- Medicamentul **MabThera** - Noile indicații aprobate în urma avizului pozitiv al CHMP și care urmează să intre în vigoare după emiterea deciziei CE:  
„În asociere cu glucocorticoizi, medicamentul MabThera este indicat pentru inducerea remisiunii la pacienții pediatri (cu vârste între  $\geq 2$  și  $< 18$  ani) cu granulomatoză cu poliangiită severă și activă (Wegener) și poliangiită microscopică (MPA).”  
și  
„În asociere cu chimioterapie, medicamentul MabThera este indicat pentru tratamentul pacienților pediatri (cu vârsta  $\geq 6$  luni până la  $< 18$  ani) cu limfom mare difuz pozitiv, difuzat cu celule B (CDB), stadiu avansat CD20, netratat anterior (DLBCL), limfom Burkitt (BL)/Leucemie Burkitt (leucemie acută cu celule B mature) (BAL) sau limfom Burkitt (BLL).”
- Medicamentul **Rezolsta** - Noua indicație aprobată în urma avizului pozitiv al CHMP și care urmează să intre în vigoare după emiterea deciziei CE:  
„În asociere cu alte medicamente antiretrovirale, medicamentul Rezolsta este indicat pentru tratamentul infecției cu virusul imunodeficienței umane (HIV-1) la adulți și adolescenți (cu vârsta de 12-18 ani sau mai mari, cu o greutate de minimum 40 kg).”
- Medicamentul **Suliqua** - Noua indicație aprobată în urma avizului pozitiv al CHMP și care urmează să intre în vigoare după emiterea deciziei CE:  
„Indicat pentru tratamentul adulților cu diabet zaharat de tip 2 insuficient controlat, pentru ameliorarea controlului glicemic, ca adjuvant la dietă și exerciții fizice, în asociere cu metformină asociată sau nu cu inhibitori SGLT-2. (Pentru rezultatele studiului cu privire la efectul asupra controlului glicemic și la grupurile de populație studiate, vezi punctele 4.4 și 5.1).”
- Medicamentul **Tybost** - Noua indicație aprobată în urma avizului pozitiv al CHMP și care urmează să intre în vigoare după emiterea deciziei CE:  
„Indicat ca potențiator farmacocinetic al atazanavirului 300 mg, o dată pe zi, sau darunavirului 800 mg, o dată pe zi, în cadrul terapiei combinate antiretrovirale pentru virusul imunodeficienței umane 1 (HIV-1) la adulți și adolescenți cu vârsta de peste 12 ani:
  - cu o greutate de minimum 35 kg, în asociere cu atazanavir
  - cu o greutate de minimum 40 kg, în asociere cu darunavir.”

- Medicamentul **Venclyxto** - Noua indicație aprobată în urma avizului pozitiv al CHMP și care urmează să intre în vigoare după emiterea deciziei CE:  
„În asociere cu obinutuzumab, medicamentul Venclyxto este indicat pentru tratamentul pacienților adulți cu leucemie limfocitară cronică netratată anterior (CLL) (vezi pct. 5.1)”.

#### **Retragerea unor cereri de autorizare de punere pe piață**

Cererea de autorizare inițială de punere pe piață pentru medicamentul **Idhifa** (*enasidenib*) a fost retrasă.

Indicația propusă pentru acest medicament era tratamentul leucemiei mieloide acute, o formă de cancer al globulelor albe.

#### **Retragerea unor cereri de extensie a indicațiilor terapeutice**

Cererea de extensie a indicațiilor terapeutice ale medicamentului **Keytruda** (*pembrolizumab*) în vederea utilizării și în tratarea cancerului esofagian a fost retrasă.