

COMUNICAT DE PRESĂ

Agenția Națională a Medicamentului și a Dispozitivelor Medicale din România prezintă în cele ce urmează traducerea în limba română a comunicatului de presă al Agenției Europene a Medicamentului (European Medicines Agency = EMA) referitor la recomandarea Comitetului EMA pentru medicamente de uz uman (Committee for Medicinal Products for Human Use = CHMP) de acordare a autorizației de punere pe piață pentru primul medicament indicat în tratarea porfiriei hepatice acute

EMA, 31 ianuarie 2020

Comunicat de presă EMA referitor la recomandarea Comitetului EMA pentru medicamente de uz uman (Committee for Medicinal Products for Human Use = CHMP) de acordare a autorizației de punere pe piață pentru primul medicament indicat în tratarea porfiriei hepatice acute

Comitetul EMA pentru medicamente de uz uman (CHMP) a recomandat acordarea autorizației de punere pe piață în Uniunea Europeană (UE) pentru medicamentul Givlaari (*givosiran*), indicat în primul tratament al porfiriei hepatice acute (PHA) la adulți și adolescenți în vârstă de 12 ani și peste.

Porfiriea hepatică acută este o afecțiune genetică rară, caracterizată de lipsa anumitor enzime necesare pentru producerea de *hem*, structură de bază a hemoglobinei, care se leagă de oxigen, precum și printr-o acumulare în organism a unor cantități toxice de porfirine. Din această cauză se pot produce episoade acute de durere abdominală severă, vărsături și tulburări ale sistemului nervos precum convulsii, depresie și anxietate.

PHA este o boală care pune viața în pericol din cauza posibilității de producere a paraliziei și stopului respirator în timpul episoadelor de boală.

La momentul desemnării acestui medicament ca medicament orfan¹, în UE, Norvegia, Islanda și Liechtenstein existau aproximativ 0,1/10 000 de persoane afectate, porfiriea hepatică acută fiind astfel considerată o boală rară.

Givosiran este o nouă substanță activă, formată dintr-o fâșie scurtă, obținută sintetic, de material genetic numit „micro-ARN interferent” (*small interfering RNA*), conceput astfel încât să interfereze cu producerea unei enzime implicate într-o etapă timpurie în realizarea *hem*-ului. Prin blocarea acestei etape precoce în producerea *hem*-ului la pacienții cu porfirie hepatică acută, se preconizează că medicamentul va preveni următoarele etape, în care se produc substanțe care se acumulează în organism și determină simptomele bolii.

¹ 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.

Pentru ameliorarea sau prevenirea directă a simptomelor cronice apărute la mulți pacienți cu PHA și reducerea riscului de episoade acute nu există tratamente autorizate, singura terapie autorizată în prezent pentru tratarea acestor episoade fiind administrarea intravenoasă de hemină, o formulare de *hem* derivată din sânge uman, dar care nu are indicație aprobată ca tratament de lungă durată pentru prevenirea episoadelor acute. Ca tratamente suplimentare se pot enumera medicamentele calmante și antiemetice (pentru combaterea simptomelor de greață și vărsături), menopauza indusă chimic cu terapie de suprimare hormonală și transplantul de ficat.

Beneficiile și siguranța medicamentului Givlaari au fost demonstrate într-un studiu clinic de fază III, la care au participat 94 de pacienți cu PHA cu antecedente de cel puțin două episoade acute în ultimele șase luni. Datele reieșite din studiu au arătat că tratamentul a determinat o scădere semnificativă a numărului de episoade acute/an, reducerea durerii și îmbunătățirea calității vieții participanților la studiu.

Dat fiind faptul că medicamentul Givlaari se adresează unei nevoi medicale neacoperite, acesta a fost inclus în programul PRIME², platformă a EMA pentru facilitarea dialogului timpuriu și mai intens cu dezvoltatorii de medicamente noi și cu potențial terapeutic promițător. 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 Givlaari, care a durat astfel numai 150 de zile.

OBSERVAȚII

1. Acest comunicat de presă, împreună cu toate documentele aferente, sunt disponibile pe site-ul web al Agenției Europene a Medicamentului.

2. Solicitantul de autorizare pentru punere pe piață a medicamentului Givlaari este compania Alnylam Netherlands B.V.

3. 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.

4. Din cauza lipsei recrutării de adolescenți într-un studiu clinic, în conformitate cu articolul 12 din Regulamentul pediatric³, Comitetul pediatric al EMA (Paediatric Committee = PDCO) a acordat o derogare specifică pentru acest medicament, aplicabilă tuturor subgrupurilor de pacienți pediatrici.

5. Pentru creșterea gradului de utilizare a expertizei în cadrul rețelei de reglementare europene, dosarul depus pentru susținerea cererii de autorizare a

² Inițiativa pentru Medicamente Prioritare (PRiority MEDicines = PRIME)

³ https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/files/eudralex/vol-1/reg_2006_1901/reg_2006_1901_ro.pdf

fost evaluat de către o echipă de evaluare multinațională, compusă din experți din Olanda, Portugalia și Polonia.

6. Mai multe informații despre activitatea Agenției Europene a Medicamentului se pot găsi pe website-ul acesteia: www.ema.europa.eu