

COMUNICAT DE PRESĂ

Agenția Națională a Medicamentului și a Dispozitivelor Medicale 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 autorizare a unui nou medicament pentru tratarea pacienților cu mucoviscidoză (fibroză chistică).

EMA, 26 iunie 2020

Comunicat de presă EMA referitor la recomandarea Comitetului EMA pentru medicamente de uz uman (Committee for Medicinal Products for Human Use = CHMP) de autorizare a unui nou medicament pentru tratarea pacienților cu mucoviscidoză (fibroză chistică)

Comitetul EMA pentru medicamente de uz uman (CHMP) recomandă acordarea autorizației de punere pe piață în Uniunea Europeană a medicamentului Kaftrio, prima terapie combinată triplă indicată în tratarea mucoviscidozei (fibrozei chistice) la pacienți cu vârsta de 12 ani și peste, cu status homozigot al mutației F508del la nivelul genei responsabile de producerea proteinei cunoscute sub denumirea de reglator al conducție transmembranare în fibroza chistică (cystic fibrosis transmembrane conductance regulator = CFTR) sau cu status heterozigot al mutației dF508del la nivelul genei CFTR cu mutație de tip MF (reducere la minim a funcției). Acest tratament este considerat o opțiune terapeutică nouă pentru tratarea multor pacienți cu mucoviscidoză, inclusiv a celor cu mutații de tip MF, pentru care nu există tratament.

Mucoviscidoza este o afecțiune genetică rară, care poate pune viața în pericol și care afectează aproximativ 42.000 de persoane la nivelul întregii Uniuni Europene. Cauza acestei tulburări o constituie apariția unei mutații a genei CFTR, care reglează transportul sării și apei în organism (conform măsurătorilor cantității de clorură în transpirație). Această mutație de la nivelul genei CFTR permite prezența în celule a unei cantități prea mari de sare și apă, ceea ce determină acumularea unei cantități excesive de mucus foarte dens, vâscos la nivelul canalelor și căilor de pasaj existente în organism.

Astfel de blocaje afectează plămânii, sistemul digestiv și alte organe. Simptomele debutează în prima copilărie și se manifestă ca tuse persistentă, infecții respiratorii și pulmonare recurente și creștere deficitară în greutate.

În prezent, pentru mucoviscidoză nu există niciun tratament curativ, aplicându-se o serie de terapii utile pentru controlul simptomelor, prevenirea complicațiilor sau reducerea incidenței acestora și îmbunătățirea calității vieții pacientului. În același timp însă, potrivit EMA, există mulți pacienți cu mutații care nu permit administrarea tratamentelor disponibile în prezent, ceea ce

determină existența unei semnificative nevoi medicale neacoperite în raport cu astfel pacienți.

În componența medicamentului Kaftrio intră trei substanțe, și anume elexacaftor, tezacaftor și ivacaftor, care acționează prin mărirea cantității de proteină CFTR și îmbunătățirea funcționării acesteia. Acest medicament este primul tratament cu eficacitate demonstrată la pacienții cu mucoviscidoză care prezintă mutația F508del pe una dintre alele și mutația de tip MF pe cealaltă. La astfel de pacienți se constată fie lipsa producției de proteină CFTR, fie producție de proteină CFTR care nu răspunde la terapiile existente *in vitro*. Totodată, medicamentul Kaftrio este indicat și în tratamentul pacienților cu statut homozigot în raport cu mutația F508del. Cele două grupuri de pacienți constituie majoritatea cazurilor diagnosticate de mucoviscidoză.

Eficacitatea și siguranța în utilizare a medicamentului Kaftrio au fost studiate în două studii clinice la care au participat peste 500 de pacienți și în cadrul cărora s-au observat ameliorări semnificative ale funcționării pulmonare a pacienților precum și scăderea cantității de clorură din transpirație.

În primul studiu, desfășurat la pacienți cu status heterozigot în raport cu mutația F508del și mutație de tip MF, s-a constatat un nivel de funcționare pulmonară cu 14,3 % mai mare în comparație cu pacienții căror li s-a administrat placebo (tratament inactiv farmacologic). În cel de-al doilea studiu, la care au participat pacienți cu status homozigot în raport cu mutația F508del (F/F), gradul de funcționare pulmonară s-a îmbunătățit cu 10 % în comparație cu pacienții care urmează tratament cu alt medicament pentru mucoviscidoză (medicamentul Symkevi).

Cele mai frecvente reacții adverse raportate la administrarea medicamentului Kaftrio au fost cefalee, diaree și infecție a tractului respirator superior.

În ciuda includerii inițiale a medicamentului Kaftrio în programul EMA de evaluare accelerată, această modalitate de evaluare nu a mai putut fi aplicată în continuare din cauza solicitării companiei pentru o întrerupere a procedurii pe o perioadă de 3 luni, redusă ulterior la 2 luni, ceea ce a dus la neîndeplinirea condițiilor pentru aplicarea procedurii de evaluare accelerată.

Avizul adoptat de Comitetul EMA pentru medicamente de uz uman constituie un pas intermediar în calea de acces al pacienților la medicamentul Kaftrio. În cele ce urmează, avizul CHMP va fi transmis Comisiei Europene în vederea adoptării unei decizii privind autorizarea de punere pe piață în întreaga UE. Odată acordată autorizația de punere pe piață, deciziile privind prețul și rambursarea se iau la nivelul fiecărui stat membru, pe baza rolului potențial/posibilității de utilizare a acestui medicament în contextul sistemului național respectiv de sănătate.

Note

Solicitantul de acordare a autorizației de punere pe piață a medicamentului Kaftrio este compania Vertex Pharmaceuticals (Ireland) Limited.

Medicamentul Kaftrio 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.