

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 de autorizare a unui nou medicament pentru tratarea angioedemului ereditar, o boală rară care produce edem subcutanat

EMA, 19 octombrie 2018

Comunicat de presă EMA referitor la recomandarea de autorizare a unui nou medicament pentru tratarea angioedemului ereditar, o boală rară care produce edem subcutanat

Comitetul pentru medicamente de uz uman (Committee for Medicinal Products for Human Use =CHMP) al Agenției Europene a Medicamentului recomandă autorizarea pentru punere pe piață a medicamentului Takhzyro (lanadelumab), prima terapie cu anticorpi monoclonali pentru prevenirea episoadelor recurente de angioedem ereditar (hereditary angioedema =HAE) la pacienții cu vârste începând cu 12 ani.

HAE este o boală debilitantă cronică și care se caracterizează prin episoade de apariție a unor edeme subcutanate în orice loc din organism, precum față, membre, intestin și laringe. Boala are drept cauză prezența unor anomalii ale genei responsabile de producerea agentului inhibitor C1 al enzimei esterază și determină niveluri scăzute de proteină C în sânge, ceea ce declanșează intensificarea activității proteinei kallikreină și în cele din urmă apariția edemului. Apărut la nivelul laringelui, edemul poate fi periculos pentru că poate obstrucționa căile respiratorii și împiedica astfel respirația.

Medicamentul Takhzyro este primul anticorp monoclonal pentru prevenirea acestei boli și a fost conceput astfel încât să poată recunoaște proteinele de kallikreină și să se atașeze de acestea, blocând astfel activitatea sistemului de kalikrein-kinină și reducând numărul de episoade de angioedem.

Medicamentul Takhzyro se administrează subcutanat la intervale de 2-4 săptămâni, îmbunătățind calitatea îngrijirii pacientului în comparație cu celelalte terapii actuale, care sunt administrate fie intravenos, fie, mai frecvent, subcutanat. Prin urmare, CHMP a considerat că medicamentul Takhzyro este de interes major pentru sănătatea publică și a aprobat solicitarea de evaluare accelerată a acestui medicament în vederea autorizării.

Beneficiile și siguranța administrării medicamentului Takhzyro au fost studiate în cadrul unui studiu clinic de fază 3, în care au fost implicați 125 de pacienți. În cursul celor 26 de săptămâni de tratament, la pacienții cărora li s-a administrat medicamentul Takhzyro s-a putut constata o reducere semnificativă a ratei totale de apariție a episoadelor recurente de HAE precum și a gravității acestora. Cele mai frecvente reacții adverse s-au manifestat la nivelul locului de injectare și au fost de intensitate ușoară.

Dat fiind faptul că HAE este o boală foarte rară, despre care se presupune că afectează mai puțin de 0,5 la 10 000 de persoane la nivel de UE, medicamentul Takhzyro a fost desemnat ca medicament orfan în luna octombrie 2015. Conform procedurii la momentul aprobării, Comitetul EMA pentru medicamente orfane (Committee for Orphan Medicinal Products =COMP) își va reanaliza decizia de desemnare a acestui medicament ca orfan, stabilind astfel dacă informațiile de până acum permit menținerea statutului de orfan al medicamentului Takhzyro și acordarea perioadei de 10 ani de exclusivitate pe piață pentru acest medicament.

Opinia adoptată de CHMP privitoare la autorizarea medicamentului Takhzyro constituie o etapă intermediară în procesul de punere a acestuia la dispoziția pacientului. În momentul de față, această opinie urmează a fi trimisă către Comisia Europeană în vederea adoptării unei decizii privind acordarea autorizației de punere pe piață valabile în întreaga UE. Odată acordată această autorizație, la nivelul fiecărui stat membru se vor lua deciziile privind prețul și rambursarea, pe baza rolului potențial/utilizării medicamentului în contextul sistemului național de sănătate al țării respective.

Notă:

Solicitantul de autorizare pentru punerea pe piață a medicamentului Luxturna este compania Shire Pharmaceuticals Ireland Limited.