

COMUNICAT DE PRESĂ

Agencia 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 pentru medicamente de uz uman (Committee for Medicinal Products for Human Use = CHMP) de autorizare condiționată pentru punere pe piață a primului agent terapeutic conjugat anticorp – medicament pentru tratarea pacienților cu mielom multiplu și opțiuni limitate de tratament

EMA, 24 iulie 2020

Comunicat de presă EMA

referitor la recomandarea Comitetului pentru medicamente de uz uman (Committee for Medicinal Products for Human Use = CHMP) de autorizare condiționată pentru punere pe piață a primului agent terapeutic conjugat anticorp – medicament pentru tratarea pacienților cu mielom multiplu și opțiuni limitate de tratament

Comitetul EMA pentru medicamente de uz uman (CHMP) recomandă acordarea autorizației de punere pe piață în Uniunea Europeană pentru medicamentul Blenrep (*belantamab mafodotină*), indicat în tratarea pacienților adulți cu mielom multiplu recurent și refractar, care nu mai răspund la tratament cu un agent imunomodulator, un inhibitor de proteazom și un anticorp monoclonal CD-38.

Mielomul multiplu este un cancer al unui tip de celule albe din sânge, care poartă denumirea de celule plasmatică, și care este răspunzător de aproximativ 2% dintre toate decesele de cauză oncologică. Celulele plasmatică normale se găsesc în măduva osoasă și constituie parte importantă a sistemului imunitar. Celulele plasmatică formează anticorpii care permit organismului să recunoască și să atace diverși germeni precum virusi sau bacterii. Acestea provin din limfocitele cu celule B și se formează în momentul în care celulele B răspund la o infecție. Când devin canceroase, celulele plasmatică încetează să mai protejeze organismul de infecții și produc proteine anormale care pot cauza probleme prin afectarea rinichilor, oaselor sau sângelui.

În ultimii ani, pentru tratamentul mielomului multiplu s-a dezvoltat și autorizat o serie de noi medicamente, ceea ce a determinat ameliorarea constantă a perioadei de supraviețuire a pacienților în general. Cu toate acestea, pentru pacienții cărora li s-a

administrat deja terapie cu trei clase majore de medicamente (agenți imunomodulatori, inhibitori de proteazom și anticorpi monoclonali) și care nu mai răspund la aceste medicamente, perspectiva rămân sumbră. Noile tratamentele care să prelungească perioada de supraviețuire a acestor pacienți peste cele trei luni sau mai puțin observate în prezent constituie o necesitate medicală neacoperită.

Medicamentul Blenrep a fost acceptat spre evaluare în cadrul Programului PRIME a EMA, beneficiind astfel de sprijinul suplimentar oferit de Agenție în cazul medicamentelor cu un potențial special de răspuns la necesitățile medicale neacoperite ale pacienților. Medicamentul Blenrep posedă un nou mecanism de acțiune, care vizează antigenul de maturare a celulelor B (BCMA), o proteină prezentă la suprafața practic a tuturor celulelor de mielom multiplu. BCMA lipsește din celulele B normale, ceea ce îl face o țintă ideală pentru acțiunea medicamentului.

Din punct de vedere structural, medicamentul Blenrep este un agent conjugat anticorp-medicament, o combinație între un anticorp monoclonal și maleimidocaproil monometil auristatină F (mcMMAF), un agent citotoxic. Medicamentul se leagă de BCMA de pe suprafețele celulelor de mielom și, o dată ajunse în interiorul acestora, se eliberează agentul citotoxic, care determină apoptoză, moartea „programată” a celulelor plasmactice canceroase.

Principalul studiu pe care se bazează recomandarea de autorizare condiționată formulată de CHMP a fost un studiu de Fază 2, deschis, randomizat, cu două brațe, în care s-a investigat eficacitatea și siguranța în utilizare a două doze de substanță activă *belantamab mafodotină* la pacienți cu mielom multiplu cu boală încă activă după administrarea a trei sau mai multe linii de terapie, care nu mai răspundeau la tratament cu medicamente imunomodulatoare și inhibitori de proteazom și nici la tratament cu un anticorp monoclonal anti-CD38. Cele mai frecvente reacții adverse întâlnite la participanții înrolați în studiile clinice cu medicamentul Blenrep au fost keratopatia (boală care afectează corneea, stratul transparent din regiunea anterioară a ochiului, care acoperă pupila și irisul) și trombocitopenia (o afecțiune care determină scăderea numărului de trombocite, care poate produce sângerare și apariția de echimoze). În ceea ce privește riscurile corneene asociate cu administrarea *belantamab mafodotină*, se recomandă efectuarea unor examene oftalmice specifice, permițând astfel gestionarea promptă și adecvată a oricăror evenimente nou identificate.

Medicamentul Blenrep este recomandat pentru autorizare condiționată de punere pe piață, unul dintre mecanismele de reglementare aplicate în UE ca mijloc de facilitare

a accesului timpuriu la medicamente care răspund unei necesități medicale neacoperite.

Acest tip de autorizare permite Agenției să recomande un medicament pentru autorizarea de punere pe piață, pe baza unui volum mai restrâns de date decât în mod obișnuit, cu condiția ca beneficiul punerii imediate la dispoziția pacienților să depășească riscul inerent produc de absența pentru moment a datelor complete.

În vederea unei mai bune caracterizări a eficacității și siguranței medicamentului, compania are obligația să prezinte rezultatele unui studiu confirmator randomizat (de Fază 3), de comparare a medicamentului Blenrep cu pomalidomidă, dexametazonă în doze mici, care constituie o opțiune standard de tratament pentru mielomul multiplu recurent și refractar. Totodată, compania trebuie să prezinte și rezultatele finale ale studiului pivot de Fază 2

Similar tuturor celorlalte medicamente, Planul de gestionare a riscurilor va asigura monitorizarea riguroasă a siguranței medicamentului, odată autorizat pe teritoriul UE. Datele suplimentare privind eficacitatea și siguranța vor fi colectate din studiile aflate în desfășurare și rapoartele post-autorizare și vor fi evaluate periodic de către CHMP și Comitetul pentru evaluarea riscurilor în materie de farmacovigilență (Pharmacovigilance Risk Assessment Committee =), comitetul EMA responsabil cu evaluarea aspectelor de siguranță pentru medicamentele de uz uman.

Opinia adoptată de CHMP referitor la medicamentul Blenrep constituie o etapă intermediară în procesul de punere a acestuia la dispoziția pacientului. În cele ce urmează, avizul CHMP va fi transmis Comisiei Europene în vederea adoptării unei decizii privind acordarea autorizației de punere pe piață valabile la 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

Note

Solicitantul de autorizare pentru punere pe piață a medicamentului Blenrep este compania GlaxoSmithKline (Ireland) Limited.

Medicamentul Blenrep a fost acceptat spre evaluare în cadrul Programului PRIME la data de 12 octombrie 2017.

Medicamentul Blenrep a fost desemnat ca orfan la data de 16 octombrie 2017, în cursul dezvoltării medicamentului solicitantul beneficiind în multiple rânduri de asistența EMA în materie de protocol și recomandări privitoare la aspectele referitoare la calitate și diverse aspecte ale dezvoltării sale non-clinice și clinice.

În urma avizului pozitiv formulat de CHMP, Comitetul EMA pentru medicamente orfane (Committee for Orphan Medicinal Products=COMP) va evalua oportunitatea menținerii statutului de orfan pentru medicamentul Blenrep.