

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 autorizarea primului tratament „histologic independent” pentru tumorile solide cu o mutație genică specifică

EMA, 26 iulie 2019

Comunicat de presă EMA referitor la autorizarea primului tratament „histologic independent” pentru tumorile solide cu o mutație genică specifică

Comitetul EMA pentru medicamente de uz uman (Committee for Medicinal Products for Human Use = CHMP) a recomandat autorizarea pentru punere pe piață în Uniunea Europeană a medicamentului Vitrakvi (*larotrectinib*), indicat în tratamentul pacienților adulți și copii cu tumori solide care prezintă o fuziune a genei NTRK (receptorul de tirozin-kinaza neurotrofică-neurotrophic tyrosine receptor kinase -NTRK). Medicamentul Vitrakvi este recomandat pacienților a căror boală s-a răspândit sau cu tumoare care nu poate fi eliminată chirurgical, și care nu beneficiază de alte opțiuni satisfăcătoare de tratament.

Medicamentul Vitrakvi este primul tratament oncologic așa-numit „histologic independent” recomandat spre aprobare în UE. Aceasta înseamnă că poate fi folosit pentru tratarea tumorilor non-hematologice (care nu debutează în sânge sau măduva osoasă) cu această mutație specifică, indiferent de locul de origine a tumorii. Înainte de inițierea acestui tratament, prezența mutației respective în tumoare trebuie confirmată printr-un test validat.

Substanța activă din medicamentul Vitrakvi (*larotrectinib*) acționează asupra unei modificări genomice foarte specifice a tumorii pacientului. Aceasta apare când genele NTRK care codifica proteine specifice sunt anormal fuzionate cu o gena. Această mutație, numită fuziune a genelor NTRK, duce la dezvoltarea de proteine care pot determina creșterea de celule canceroase. Medicamentul Vitrakvi blochează acțiunea acestor proteine, inhibând astfel dezvoltarea cancerului.

Fuziunile genice ale NTRK sunt foarte frecvent observate la anumite tipuri de cancer rare care apare atât la adulți, cât și la copii. În plus, această fuziune genică mai poate apărea, deși rar, în unele dintre cele mai răspândite tipuri de cancer.

Eficacitatea și siguranța medicamentului Vitrakvi au fost analizate în cadrul a trei studii cu un singur braț (studii fără grup de control), în care s-au evaluat în total 102 adulți și copii cu afecțiuni oncologice. Aceștia fie li se administrase deja terapie standard, fie ar fi trebuit supuși unei intervenții chirurgicale deformante sau răspunsul la terapiile disponibile era puțin probabil.

Pacienții care au răspuns la tratamentul cu medicamentul Vitrakvi au fost în proporție de 67%. La pacienții respectivi, în 88% dintre cazuri răspunsul a durat șase luni sau mai mult, iar la 75% din aceștia, răspunsul a durat 12 luni sau mai mult. Răspunsurile tumorale au fost observate atât la tipuri de tumori rare, precum fibrosarcomul infantil și tumorile glandelor salivare, cât și în boli mai frecvent întâlnite, precum cancerul pulmonar și de colon.

Cele mai frecvente reacții adverse au fost oboseala, creșterea nivelului de enzime hepatice, amețeală, constipație, greață, anemie (număr scăzut de globule roșii) și vărsături.

Pentru acest medicament, CHMP a recomandat autorizarea condiționată, care este unul dintre mecanismele de reglementare din UE pentru facilitarea accesului timpuriu la medicamente care răspund unei nevoi medicale neacoperite. Acest tip de aprobare permite EMA să recomande un medicament spre autorizare pentru punere pe piață pe baza unui volum

mai redus de date decât în mod obișnuit, în cazurile în care beneficiul punerii imediate la dispoziția pacienților depășește riscul determinat de indisponibilitatea la acel moment a tuturor datelor.

Opinia adoptată de CHMP constituie o treaptă intermediară în accesul pacienților la medicamentul Vitrakvi. Opinia CHMP va fi transmisă Comisiei Europene în vederea adoptării unei decizii privind autorizarea pentru punere pe piață la nivelul întregii UE. Odată cu acordarea autorizației de punere pe piață, deciziile privind prețul și rambursarea se vor lua la nivelul fiecărui stat membru, în funcție de rolul/posibila utilizare a medicamentului în contextul sistemului național de sănătate al țării respective.

Notă

Solicitantul de autorizare pentru punerea pe piață a medicamentului Vitrakvi este compania Bayer AG.