

## COMUNICAT DE PRESĂ

Agencia 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 pentru Medicamente de Uz Uman (CHMP) privind acordarea a două noi autorizații de punere pe piață pentru utilizare pediatrică pentru medicamentele Kigabeq (vigabatrin) și Slenyto (melatonină), dezvoltate în mod specific pentru administrare la copii, bazat pe medicamentele deja existente

EMA, 27 iulie 2018

### **Comunicat de presă EMA referitor la recomandarea CHMP privind acordarea a două noi autorizații de punere pe piață pentru utilizare pediatrică pentru medicamentele Kigabeq (vigabatrin) și Slenyto (melatonină), dezvoltate în mod specific pentru administrare la copii, bazat pe medicamentele deja existente**

Comitetul EMA pentru medicamente de uz uman (Committee for Medicinal Products for Human Use = CHMP) recomandă acordarea autorizației de punere pe piață pentru uz pediatric (Paediatric-Use Marketing Authorisation = PUMA) medicamentelor Kigabeq (vigabatrin) și Slenyto (melatonină).

PUMA se acordă medicamentelor autorizate care au fost dezvoltate în mod specific pentru utilizare la populația pediatrică și care nu se mai află sub protecția brevetului. PUMA au drept scop stimularea cercetării medicamentelor existente în vederea optimizării tratamentelor pediatrice prin acordarea unei perioade de zece ani de protecție pe piață acestor medicamente.

Medicamentul Slenyto urmează a fi utilizat pentru tratarea insomniei la copii cu vârsta peste 2 ani, cu tulburare de spectru autist și sindrom Smith-Magenis (tulburare cu diverse caracteristici, inclusiv handicap intelectual, întâzieri de vorbire și limbaj, trăsături distinctive ale feței, tulburări de somn și probleme de comportament). Tulburările de somn sunt frecvente la copii cu handicap de dezvoltare fiind deseori dificil de tratat. În prezent, nu există medicamente autorizate în vederea tratării insomniei la copii iar în practică medicii prescriu utilizarea *off-label* (în afara indicației aprobate) a unor medicamente, printre care și melatonina.

Medicamentul Slenyto a fost dezvoltat în mod specific pentru uz pediatric și este disponibil într-o formă farmaceutică adecvată vârstei, ca și comprimate de mici dimensiuni. Eficacitatea și siguranța medicamentului la acest grup de populație au fost demonstrate pe bază de date științifice obținute în cadrul unui studiu clinic. Substanța activă conținută de acest medicament, melatonina, este un hormon natural produs în mod normal de o glandă din creier cunoscută sub denumirea de glandă pineală, acesta fiind implicat în coordonarea ciclului de somn al organismului. Conform datelor din studiul clinic și din literatura științifică, medicamentul se asociază cu o mărire semnificativă a timpului total de somn, reducerea perioadei de latență a somnului (durata necesară instalării somnului efectiv după stingerea luminii) și o durată mai mare a somnului neîntrerupt. Principalele efecte adverse observate în studiul clinic au fost somnolența, cefaleea și oboseala.

Medicamentul Kigabeq, cel de al doilea medicament recomandat de CHMP spre autorizare în cadrul ultimei sale întruniri, este destinat tratării spasmului infantil (sindromul West), o formă severă și mai puțin frecventă de epilepsie, asociată cu crize (spasme epileptice) foarte rezistente la tratament și regresie psihomotorie rapidă, precum și pentru tratarea epilepsiei parțiale rezistente, la sugari și copii cu vârste între 1 lună și 7 ani.

Vigabatrina, substanța activă din medicamentul Kigabeq, este un agent antiepileptic autorizat pentru prima dată în Europa cu aproape treizeci de ani în urmă, folosit în mod curent la pacienți adulți și pediatrici, în special la cei cu forme de epilepsie dificil de gestionat. În prezent, vigabatrina se găsește pe piața Uniunii Europene (UE) sub formă de comprimate filmate de 500 mg sau plicuri cu granule pentru soluție orală, care trebuie divizate și/sau diluate pentru o administrare adecvată la copii.

CHMP a recomandat acordarea autorizației de punere pe piață pentru utilizarea pediatrică a acestui medicament datorită formei sale farmaceutice mult mai ușor de administrat la copii, reducându-se astfel riscul de eroare de medicație. Medicamentul Kigabeq se prezintă sub formă de comprimate solubile de 100 mg și 500 mg, cu doze unitare crescătoare de 50 mg, astfel încât să permită o mai bună ajustare a dozei la greutatea corporală a pacientului. Medicamentul este destinat administrării ca soluție orală, putând fi administrată și prin tub nazogastric.

Profilul de siguranță a medicamentului este bine cunoscut, cele mai frecvente evenimente adverse ale tratamentului fiind defectele de câmp vizual, stare marcată de sedare, precum și stare de agitație și excitație.

Necesitatea unor forme farmaceutice specifice pentru uz pediatric ale vigabatrinei și melatoninei a fost identificată de Comitetul de experți EMA pentru medicamente de uz pediatric, Comitetul pediatric (Paediatric Committee=PDCO) și menționată în inventarul de cerințe pentru medicamentele de uz pediatric, care are drept obiectiv sprijinirea dezvoltatorilor de noi medicamente în vederea identificării de oportunități. Medicamentele în cauză au fost dezvoltate în conformitate cu un Plan de investigație pediatrică (Paediatric Investigation Plan = PIP), avizat de PDCO.

Opinia adoptată de CHMP constituie o etapă intermediară în accesul pacientului la Slenyto și Kigabeq, urmând a fi trimisă Comisiei Europene în vederea adoptării unor decizii privind acordarea autorizației de punere pe piață valabile în întreaga UE. Odată acordate aceste autorizații, la nivelul fiecărui stat membru se vor lua deciziile privind prețul și rambursarea, pe baza rolului potențial/utilizării medicamentelor în contextul sistemului național de sănătate al țării respective.

Note:

Solicitantul pentru Slenyto este compania RAD Neurim Pharmaceuticals EEC Ltd.

Solicitantul pentru Kigabeq este compania Orphelia Pharma SAS.

Un medicament care conține melatonină, Circadin, este autorizat centralizat în UE. Acesta se utilizează pe termen scurt pentru tratarea insomniei primare (somm de calitate inferioară) la pacienții cu vârsta de 55 de ani sau peste.