

Aspecte importante ale reuniunii Comitetului pentru medicamente de uz uman

(CHMP) 22-25 aprilie 2025

25 aprilie 2025

16 medicamente noi recomandate pentru aprobare; alte zece medicamente recomandate pentru extinderea indicațiilor lor terapeutice

Comitetul pentru medicamente de uz uman (CHMP) al EMA a recomandat 16 medicamente pentru aprobare la reuniunea sa din aprilie 2025.

CHMP a recomandat acordarea unei autorizații depunere pe piață pentru **Alyftrek*** (deutivacaftor/tezacaftor/vanzacaftor), un medicament destinat tratamentului fibrozei chistice la persoanele cu vârsta de șase ani și peste care au cel puțin o mutație non-clasa I a genei reglatoare a conductanței transmembranare a fibrozei chistice. Fibroza chistica este o boala ereditara care afecteaza plamanii, sistemul digestiv si alte organe.

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/alyftrek>

A fost adoptată o opinie pozitivă pentru **Attrogy* (diflunisal)**, pentru tratamentul **amiloidozei ereditare mediată de transtiretină**, o boală în care proteinele anormale numite amiloizi se acumulează în țesuturile din jurul corpului, inclusiv în jurul nervilor.

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/attrogy>

Comitetul a recomandat acordarea unei autorizații condiționate de punere pe piață pentru **Duvyzat* (givinostat)**, ca tratament pentru **distrofia musculară Duchenne (DMD) la pacienții cu vârsta de la șase ani care pot merge**. DMD este o boală genetică rară, în cele din urmă letală, în care mușchii slăbesc progresiv și își pierd funcția. Vezi mai multe detalii la:

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/duvyzat>

<https://www.ema.europa.eu/en/news/new-treatment-against-duchenne-muscular-dystrophy>

Sephience* (sepiapterina) a primit un aviz pozitiv din partea CHMP pentru tratamentul **hiperfenilalaninемiei la adulți și copii cu fenilcetonurie**, o boală moștenită în care oamenii nu pot procesa aminoacidul fenilalanină, determinând acumularea acestuia în sânge și creier, ceea ce poate fi dăunător.

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/sephience>

Tepezza (teprotumumab) a primit un aviz pozitiv din partea CHMP pentru tratamentul adulților cu **boală oculară tiroidiană (TED) moderată până la severă**, cunoscută și sub denumirea de **boala oculară a lui Graves**, o boală autoimună rară care declanșează inflamarea mușchilor, grăsimilor și a altor țesuturi din jurul și din spatele ochilor. Opțiunile de tratament pentru TED moderat până la sever sunt limitate, majoritatea pacienților sunt tratați cu corticosteroizi și unii pacienți au nevoie de intervenții chirurgicale reconstructive multiple. Vezi mai multe detalii la:

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/tepezza>

<https://www.ema.europa.eu/en/news/first-treatment-against-severe-thyroid-eye-disease>

CHMP a recomandat acordarea unei autorizații condiționate de punere pe piață pentru **Ziihera*** (**zanidatamab**), pentru tratamentul adulților cu **cancer de tract biliar HER2-pozitiv nerezecabil local avansat sau metastazat**, un termen colectiv pentru un grup de cancere ale tractului gastrointestinal rare, adesea fatale, reprezentând aproximativ 1% din toate cancerele la adulți.

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/ziihera>

CHMP a recomandat acordarea unei autorizații de punere pe piață pentru **Oczyesa*** (**octreotidă**), pentru tratamentul adulților cu **acromegalie**, o boală care duce la creșterea excesivă, în special a oaselor din mâini, picioare și față, cauzată de excesul de hormon de creștere. Acest medicament a fost depus într-o cerere hibridă, care se bazează în parte pe rezultatele testelor preclinice și ale studiilor clinice ale unui produs de referință deja autorizat și în parte pe date noi.

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/oczyesa>

Comitetul a adoptat avize pozitive pentru nouă medicamente biosimilare:

Dazublys (trastuzumab), pentru tratamentul cancerului de sân metastatic și precoce;

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/dazublys>

Denbrayce (denosumab), Enwylma (denosumab), Vevzuo (denosumab) și Yaxwer (denosumab), pentru prevenirea evenimentelor legate de schelet la adulți cu afecțiuni maligne avansate, tratamentul scheletic al adulților și adolescenților maturi cu tumori osoase cu celule gigantice;

Denosumab BBL (denosumab), Izamby (denosumab), Junod (denosumab) și Zadenvi (denosumab), pentru tratamentul osteoporozei și pierderii osoase.

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/denbrayce>

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/denosumab-bbl>

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/enwylma>

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/izamby>

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/junod>

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/vevzuo>

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/yaxwer>

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/zadenvi>

Opinie negativă pentru un medicament

Comitetul a recomandat neacordarea unei autorizații de punere pe piață pentru **Winlevi (clascoteronă)**, un medicament destinat tratării **acneei vulgare**.

Pentru mai multe informații despre această opinie negativă, consultați documentul cu întrebări și răspunsuri disponibil la¹:

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/winlevi>

Recomandări privind extinderea indicației terapeutice pentru zece medicamente

Comitetul a recomandat extinderi de indicație pentru zece medicamente care sunt deja autorizate în Uniunea Europeană (UE): **Adcetris, Adempas, Amvuttra*, Calquence, Cystadrops*, Jivi, Veklury, Vyvgart*, Xofluza și Vaccinul antigripal zoonotic Seqirus**.

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/variation/adcetris-0>

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/variation/adempas-0>

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/variation/amvuttra>

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/variation/calquence-1>

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/variation/cystadrops>

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/variation/jivi>

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/variation/veklury>

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/variation/vyvgart>

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/variation/xofluza>

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/variation/zoonotic-influenza-vaccine-seqirus>

Reexaminarea cererii inițiale de autorizație de punere pe piață

Deținătorul autorizației de punere pe piață pentru **Kisunla (donanemab)**, un medicament destinat tratamentului **bolii Alzheimer precoce**, a solicitat o reexaminare a avizului adoptat în cadrul ședinței comitetului din martie 2025. La primirea motivelor cererii, CHMP își va reexamina avizul și va emite o recomandare finală.

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/kisunla>

Retragerea cererilor

O cerere pentru o autorizație inițială de introducere pe piață a fost retrasă. **Dazluma (clorhidrat de troriluzol monohidrat)** a fost destinat pentru tratamentul **ataxiei spinocerebeloase genotip 3 (SCA3)**, o tulburare moștenită a creierului care afectează coordonarea și echilibrul.

De asemenea, a fost retrasă o cerere de extindere a indicației terapeutice a **Ngenla (somatrogon)** în tratamentul adulților cu **deficit de hormon de creștere**.

Documentele cu întrebări și răspunsuri privind retragerile acestor medicamente sunt disponibile la:

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/dazluma>

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/variation/ngenla>

Ordinea de zi și procesul-verbal

Ordinea de zi a reuniunii CHMP din aprilie 2025 este publicată pe site-ul web al EMA. Procesul-verbal al ședinței va fi publicat în săptămânile următoare.

*Acest produs a fost desemnat ca medicament orfan în timpul dezvoltării sale. Desemnările de orfane sunt reevaluate de Comitetul pentru medicamente orfane (COMP) al EMA la momentul aprobării pentru a determina dacă informațiile disponibile până la momentul prezent permit menținerea statutului de orfan al medicamentului și acordarea medicamentului de zece ani de exclusivitate pe piață.

¹ Acest anunț a fost actualizat la 30 aprilie 2025 pentru a include avizul negativ pentru Winlevi (clascoteronă)