

BULLETIN A NOVINKY

FEBRUÁR 2013

POMALIDOMID bol schválený FDA na použitie v USA

Americký Úrad pre potraviny a lieky (FDA) schválil pomalidomid (obchodné meno Pomalyst) ako liek pre pacientov s relabovaným a refraktérnym myelómom. Ide o druhý nový liek schválený FDA za ostatných 8 mesiacov (Kyprolis bol schválený v auguste minulého roka).

Pomalyst je imunomodulatórny liek (IMiD) pôsobiaci na obdobnom princípe ako thalidomid a Revlimid. Je určený špeciálne pre pacientov liečených minimálne dvomi predchádzajúcimi liečbami vrátane Revlimidu (lenalidomid) a Velcade (bortezomib), ak ich myelóm nereagoval na liečbu a progredoval v priebehu 60 dní od ostatnej liečby.

Predseda MPE Sarper Diler ku schváleniu Pomalystu uviedol: "Ide o veľmi dobrú správu. Liek však stále nie je schválený v Európe. Čo je ešte závažnejšie, v mnohých európskych krajinách pacienti dosiaľ nemajú prístup ku thalidomidu a Revlimidu. Tento stav je neakceptovateľný.

MPE v krátkom čase oznámi svoj plán na zabezpečenie rovnakého prístupu k efektívnej liečbe myelómu pre všetkých pacientov".

Otázky a odpovede:

Prečo bol Pomalyst schválený FDA?

FDA umožnilo registráciu Pomalystu na základe pozitívnych výsledkov klinickej štúdie Fáza III 'MM-003'. Štúdia MM-003, zahŕňajúca 455 pacientov s relabovaným a refraktérnym myelómom, liečených v minulosti Revlimidom a Velcadeom, porovnávala účinnosť Pomalystu v kombinácii s dexametazónom v nízkych dávkach s účinnosťou samotného dexametazónu vo vysokých dávkach.

Výsledky preukázali, že Pomalyst v kombinácii s nízkymi dávkami dexametazónu významne predlžil prežitie pacientov bez progresu choroby a priniesol aj zlepšenie ich celkového prežitia v porovnaní s pacientami liečenými iba vysokými dávkami dexametazónu. Správu o tejto štúdií z konferencie ASH čoskoro sprístupníme našim členom.

Aké sú výhody Pomalystu?

Ako už bolo povedané, Pomalyst je imunomodulatórny liek s obdobným mechanizmom účinku ako thalidomid a Revlimid, ktoré sú bežne používané pri liečbe myelómu. Údaje z množstva rôznych štúdií však preukazujú, že Pomalyst je účinnejší dokonca aj u relabovaného a refraktérneho myelómu, nereagujúceho na liečbu thalidomidom, Revlimidom a Velcadeom. Schválenie Pomalystu je preto pre túto skupinu pacientov veľmi sľubnou správou. Štúdia MM-003 taktiež preukázala, že Pomalyst má ľahšie znesiteľné vedľajšie účinky a nižší výskyt trombocytopenie (nízky počet doštičiek) a periférnej neuropatie ako Revlimid a thalidomid. U pacientov liečených Pomalystom sa však vyskytol vyšší počet neutropénie (nízke množstvo bielych krviniek) v porovnaní s pacientami liečenými Revlimidom.

Čo znamená schválenie Pomalystu FDA pre pacientov v Európe?

Schválenie FDA sa nevzťahuje na európskych pacientov, keďže jej rozhodnutia sú účinné iba na území USA. V Európe musí byť každá nová liečba schválená Európskou agentúrou pre lieky (EMA)¹ Pozitívne rozhodnutie FDA je však silným signálom kladného rozhodnutia EMA. Žiadosť o licenciu na Pomalyst bola predložená EMA v júni 2012 a rozhodnutie sa očakáva v prvej polovici roku 2013. Informáciu o prijatí rozhodnutia uverejníme bezodkladne na našej web stránke.

Ako môžem v medzičase získať prístup k Pomalystu?

Môžete sa obrátiť na Vášho lekára alebo lokálneho člena MPE vo Vašej krajine² a požiadať ho o informáciu o dostupnosti Pomalystu vo Vašej krajine, regióne, či nemocnici. Keďže však Pomalyst nie je ešte registrovaný v EÚ, dostupný bude zrejme iba v rámci klinických štúdií. Bolo by tiež možno užitočné kontaktovať pobočku spoločnosti Celgene vo vašej krajine. Viac informácií o klinických štúdiách je dostupných na www.clinicaltrialsregister.eu.

Kde možno nájsť viac informácií o Pomalyste?

Ak máte ďalšie otázky alebo poznámky k Pomalystu a schváleniu FDA, kontaktujte prosím sarper.diler@myelomapatientseurope.org alebo eric.low@myelomapatientseurope.org.

PROGRAM PODUJATÍ V ROKU 2013

Informácie o programe a aktivitách MPE v roku 2013 budú dostupné na našej web stránke. O všetkých aktivitách budeme našich členov priebežne informovať a umožníme im aktívne sa zapojiť.

1 EMA je decentralizovaným orgánom Európskej únie so sídlom v Londýne

2 V SR je to SMYS.

Úspech Masterclass v Edinburghu

Veľmi úspešný seminár Masterclass usporiadala MPE minulý rok v novembri v Edinburghu. Zúčastnilo sa na ňom 23 zástupcov z partnerských skupín. Prvý deň sa program sústredil na klinické štúdie a druhý deň na získavanie finančných zdrojov. Prezentácie a súvisiace dokumenty sú dostupné na webovej stránke MPE. Súčasťou programu Masterclass zameraného na klinické štúdie bol aj príprava konceptu Charty klinických štúdií. Tento bude čoskoro zaslaný členom MPE na pripomienkovanie a následné odsúhlasenie. V roku 2013 plánujeme usporiadať minimálne dva ďalšie Masterclass.

Správa MPE

Správa Perspektíva pacientov a ich úloha vo výskume myelómu je hotová. Ďakujeme všetkým, ktorí sa podieľali na jej príprave. Chceme byť nápomocní pri jej preklade do toľkých jazykov, do koľkých sa len bude dať a počas podujatí MPE budeme diskutovať o tom, ako čo najlepšie implementovať odporúčania správy do praxe.

Elektronická komunikácia v roku 2013

Pre zlepšenie komunikácie v roku 2013 a v nasledujúcich rokoch, MPE bude so svojimi členmi komunikovať aj týmito spôsobmi:

1. E-Bulletin – mesačná frekvencia – všeobecný prehľad o aktivitách MPE a o zaujímavých novinkách zo sveta
2. Informácia o dôležitých novinkách – podľa potreby – informácia o veľmi dôležitej udalosti
3. Aktuality pre členov – raz za dva mesiace – sumár najnovších informácií od členov
4. Aktuality z konferencií – podľa konania ASH, EHA a IMW – sumár najnovšieho výskumu prezentovaného na týchto konferenciách
5. Špeciálne oznamy – podľa potreby – upozornenie členom na dôležité dátumy a termíny.

KONFERENCIE A AKTUALITY

Spolupráca s Európskou agentúrou pre lieky (EMA)

Počas posledných mesiacov MPE intenzívne spolupracovala s EMA. Každé dva mesiace sa v Londýne stretávajú zástupcovia EMA a skupiny EudraCT & JOG (Eudra Clinical Trials and Joint Operational Group) a pracujú na Európskom registri klinických štúdií, verejne prístupnej webovej stránke informujúcej o klinických štúdiách (www.clinicaltrialsregister.eu). V poslednom období boli spravené mnohé vylepšenia, aby bola táto užitočná stránka ešte viac prístupná užívateľom. Už čoskoro sa zrealizuje ďalší významný krok: bude vydaná publikácia o výsledkoch klinických štúdií, dôležitý medzník v tom, aby sa klinický výskum stal transparentnejším.

Expertná skupina pomalidomidu

MPE je v rámci EMA zahrnutá do diskusií o liekoch na myelóm, ktoré sa podrobujú schvaľovaniu na ich predaj v Európe. Najnovším príkladom je pomalidomid. Pomalidomid je EMA posudzovaný ako liečba pre pacientov s relabovaným a refraktérnym myelómom po minimálne dvoch predchádzajúcich liečbach tak lenalidomidom, ako aj bortezomibom, u ktorých nastal postup choroby v priebehu ostatnej liečby. Zástupkyňa MPE úzko spolupracuje s EMA počas schvaľovacieho procesu pomalidomidu a zúčastňuje sa na stretnutiach s vedcami a obeťami thalidomidu. Taktiež preveruje dokumentáciu pre pacientov (ako napríklad príbalový leták) aby sa uistila, že informácie pre pacientov sú jasné a prispôbené ich potrebám.

PCWP (Pracovná skupina pacientov & spotrebiteľov)

MPE sa pravidelne zúčastňuje na každoročných stretnutiach PCWP s patientskými organizáciami, spolupracujúcimi s EMA. Témami posledného stretnutia boli aj nová stratégia EMA vo veci konfliktu záujmov, zakladanie organizácií, účasť pacientov v hodnoteniach prínosu/rizika a ich účasť vo vedeckých poradných procedúrach.

EMA tréningy

EMA každoročne organizuje tréningový seminár pre zástupcov pacientov, vhodných na spoluprácu s EMA. Ostatný tréning v novembri 2012 sa sústreďoval na horúcu tému v zdravotnej starostlivosti: novú farmakologickú legislatívu.

EURORDIS – DITA

Dvaja predstavitelia MPE sú členmi DITA, organizácie združujúcej pacientov so zriedkavými chorobami. DITA sa podieľa na mnohých projektoch umožňujúcich lepší prístup k informáciám o liečbe zriedkavých chorôb, smerniciam pre liečbu a pripomienkovaní návrhov novej legislatívy v oblasti zdravotnej starostlivosti. DITA tiež úzko spolupracuje s EMA a ďalšími významnými organizáciami na poli zdravotnej starostlivosti. Okrem pravidelných mesačných telefonátov absolvovali členovia DITA v minulých mesiacoch aj dve osobné stretnutia v Paríži a Londýne.

ECCO

ECCO – the European CanCer Organisation (Európska organizácia zaoberajúca sa rakovinou) vyznáva filozofiu, že každý pacient s rakovinou si zaslúži to najlepšie. Imputovať túto myšlienku aj pacientom, je základom všetkých aktivít a vzdelávacích programov ECCO. Na podporu pacientov ECCO zriadilo Pacientsku dozornú komisiu (PAC). Tá poskytuje európskym patientským organizáciám a orgánom zainteresovaným v starostlivosti o pacientov stálu platformu na vyjadrenie ich očakávaní v súlade s

profesionálnymi organizáciami a umožňuje ECCO pohľad priamo na otázky a výzvy, ktorým čelia pacienti s rakovinou.

Európsky kongres o rakovine (The European Cancer Congress)

Kongres sa uskutoční 27. septembra až 1. októbra 2013 v Amsterdame. Kongres bude obsahovať aj osobitný seminár venovaný pacientom nazvaný Ochrana práv pacienta a etika. Nosnou témou seminára je spolupráca – ľudia zdieľajú svoje myšlienky a to vedie k lepšiemu porozumeniu prániam pacientov, nie len suchému vyplňaniu ich potrieb.

Predbežný program seminára je nasledovný:

Sobota 28. septembra

11.15 – 13.15 Tento týždeň hovoríme o rakovine s Richardom Sullivanom (talk show)

14.15 – 15.15 Medicína zameraná na konkrétneho človeka

16.00 – 18.00 Rakovina a teraz čo? Návrat do normálneho života

Nedeľa 29. septembra

09.00 – 11.00 Ochrana práv pacienta: robili sme to dobre?

11.15 – 12.00 Panelová diskusia: Kvalita života/ Paliatívna liečba – vnímajú pacienti kvalitu života rovnako ako ich lekári?

13.15 – 14.15 Adherencia k liečbe rakoviny: stojí to za to?

14.45 – 16.45 Niektorí pacienti si sú rovnější ako iní

17.00 – 18.00 Odhodlanie mladých ľudí s rakovinou – cestovný pas pre preživších

Panel o ochrane práv pacientov na EHA

Plány pre toto celodenné stretnutie na EHA 2013 v Štokholme sa vyvíjajú veľmi dobre. Už bol pripravený návrh programu, ktorý skúma komisia EHA. Len čo bude program potvrdený, bude umiestnený na našej web stránke.

NOVINKY ZO SVETA MYELÓMU

Zvýšené riziko myelómu u záchranárov zo Svetového obchodného centra

Výsledky početných štúdií naznačujú, že ľudia, ktorí sa zúčastnili na záchranných prácach vo Svetovom obchodnom centre po teroristických útokoch z 11. septembra 2001, majú zvýšené riziko, že u nich prepukne myelóm a iné druhy rakoviny.

Decembrové číslo prestížneho časopisu Journal of the American Medical Association publikovalo štúdiu analyzujúcu údaje získané od 55 778 ľudí zahrnutých do Registru Svetového obchodného centra v rokoch 2003 a 2004.

Z nich 21 850 boli záchranári a osoby pracujúce na obnove miesta. Medzi zaradením do registra a decembrom 2008 bolo u nich zistených 1 187 nových prípadov rakoviny, v 37% prípadov išlo o záchranárov alebo pracovníkov podieľajúcich sa na obnove.

Nebol zistený významný rozdiel v celkovom výskyte rakoviny medzi záchranármi a obnoviteľmi a tými, čo takéto činnosti nevykonávali. Bol však zistený významný rozdiel medzi oboma skupinami vo výskyte myelómu a karcinómu prostaty a štítnej žľazy.

Autori sa domnievajú, že vystavenie faktorom, ktoré už boli v minulosti skúmané ako príčina vzniku myelómu, môže spôsobiť jeho častejšie rozvinutie. Zdôrazňujú však, že na prijatie definitívneho záveru bude potrebných viac dlhodobých údajov.