

A rákellenes gyógyszerek gyorsított engedélyezési eljárásának kérdőjelei az Egyesült Államokban

JAMA. 2024;331(17):1448-1450. doi:10.1001/jama.2024.4089 ; 6 April 2024

Apud Medscape.com. April 08, 2024

Kulcsszavak: gyógyszer, rákellenes gyógyszerek, onkológikumok, gyógyszerengedélyezés, gyorsított gyógyszerengedélyezés, Egyesült Államok

Forrás **Internet-helye:** <https://jamanetwork.com/journals/jama/article-abstract/2817324> ; <https://www.medscape.com/viewarticle/less-than-50-accelerated-approvals-show-clinical-benefit-2024a10006nm>

Az **Egyesült Államok Élelmiszer- és Gyógyszerügyi Hivatala (Food and Drug Administration – FDA)** gyorsított eljárással engedélyezi az ígéretes rákellenes gyógyszerek forgalomba hozatalát. Az FDA és a gyártók közötti megállapodás szerint a vállalkozók kevésbé kifejező paramétereket, ún. szurrogát markereket alkalmazhatnak a tumor visszaszorítása vagy növekedése csökkentésének mérésére, de további vizsgálatokra kötelezik magukat a túlélési esély megerősítésével kapcsolatban. Ám egyre erősödik a gyanú, hogy ezek a szurrogát markerek nem jelzik meggyőzően a túlélés esélyeit vagy az életminőség javulását.

Egy aktuális tanulmány szerint a 2013 és 2017 között gyorsított eljárással engedélyezett rákellenes gyógyszerek 57%-ánál (46-ból 26-nál) ötéves utóvizsgálatot követően kiderült, hogy azoknál nem bizonyítható a klinikai haszon. Ebben az időszakban a 46 indikáció közül 10-et (22%) visszavontak.

Egy öt évvel korábbi hasonló elemzés szerint az 1992 és 2017 között gyorsított eljárással engedélyezett 93 gyógyszer közül a megerősítő kutatások csak az indikációk 20%-ánál bizonyították a túlélési esélyek javulását.

Ezzel szemben **Julie R. Gralow MD (Chief Medical Officer of the American Society of Clinical Oncology)** és **Ian T.T. Liu, MD, JD, MPH** egyöntetűen állítja, hogy áttétes betegek számára a gyorsított eljárással engedélyezett gyógyszerek segíthetnek, korai stádiumban levő betegeknél viszont elővigyázatosabban kell eljárni.

Dr. Nathan I. Cherny (Shaare Zedek Medical Center Jerusalem) szerint az FDA tudatos politikát követ, amelynek keretében csökkenti a gyógyszer engedélyezésének és forgalmazásának küszöbét. Prioritást biztosít a gyógyszer piaci jelenlétének a bizonytalansággal szemben.

Hosszú ideig olyan helyzet uralkodott, hogy a vállalkozások nem végezték el a megerősítő vizsgálatokat. Liu szerint akár tíz év is eltelhetett a gyorsított engedélyezés óta és ezek a gyógyszerek még mindig piacon voltak. 2022-ben azonban az FDA újabb hatásköröket kapott, így kötelezheti a gyártókat, hogy már a gyorsított engedélyezés időpontjában alanyokat toborozzanak a megerősítő vizsgálatához.