



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

24 juni 2016
EMA/430531/2016
EMA/H/C/003846

Frågor och svar

Återkallande av ansökan om godkännande för försäljning av Kyndrisa (drisapersen)

Den 31 maj 2016 underrättade BioMarin International Limited officiellt Europeiska läkemedelsmyndighetens kommitté för humanläkemedel (CHMP) om att de önskar återkalla sin ansökan om godkännande för försäljning för Kyndrisa som var avsett för behandling av Duchennes muskeldystrofi.

Vad är Kyndrisa?

Kyndrisa är ett läkemedel som innehåller den aktiva substansen drisapersen. Det skulle finnas som en lösning för injektion under huden.

Vad skulle Kyndrisa användas för?

Kyndrisa skulle användas vid behandling av Duchennes muskeldystrofi på patienter från fem år och uppåt som kan gå och vars sjukdom beror på vissa genmutationer (defekter) som kan behandlas med s.k. exon 51-skippling-teknik. Duchennes muskeldystrofi är en allvarlig genetisk sjukdom, som främst drabbar pojkar och vanligen diagnostiseras före sex års ålder. Den orsakar progressiv svaghet och förlust av muskelfunktion, och leder oftast till döden i tonåren eller tidigt i vuxenlivet.

Kyndrisa klassificerades den 27 februari 2009 som ett sär läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) avsett att användas vid Duchennes muskeldystrofi. Mer information om klassificeringen som sär läkemedel finns [här](#).

Hur var det tänkt att Kyndrisa skulle verka?

Duchennes muskeldystrofi orsakas av mutationer i genen för proteinet dystrofin, vilket leder till att det dystrofin som bildas inte är funktionellt. Läkemedlet verkar genom s.k. exon 51-skippling-teknik.



Tekniken gör det möjligt för proteinbildningen i cellen att hoppa över vissa delar av dystrofingenen, så att ett kortare men delvis fungerande dystrofinprotein bildas.

Vad har företaget lämnat in som stöd för sin ansökan?

Kyndrisa undersöktes i tre studier med totalt 290 patienter som hade Duchennes muskeldystrofi. I studierna jämfördes effekterna av Kyndrisa med placebo (overksam behandling) och det primära effektmåttet var förändringen av hur långt patienten kunde gå på sex minuter efter 24 eller 48 veckors behandling.

Hur långt hade utvärderingen kommit när ansökan drogs tillbaka?

Ansökan drogs tillbaka efter att CHMP hade utvärderat den dokumentation som företaget lämnat in och sammanställt en frågelista. Vissa viktiga frågetecken kvarstod när CHMP hade utvärderat företagets svar på den sista omgången frågor.

Vad rekommenderade CHMP vid den tidpunkten?

Efter genomgång av de inlämnade uppgifterna och företagets svar på CHMP:s frågelista hyste CHMP vid tidpunkten för återkallandet vissa betänkligheter och ansåg preliminärt att Kyndrisa inte skulle ha kunnat godkännas för behandling av Duchennes muskeldystrofi.

Kommittén ansåg att uppgifterna från de kliniska studierna inte i tillräcklig grad visade någon gynnsam effekt av Kyndrisa: huvudstudien visade inte någon gynnsam effekt hos patienter med tillståndet och de två andra studierna kunde inte visa någon genomgående gynnsam effekt. Läkemedlets säkerhetsprofil ansågs dessutom inte vara tillfredsställande, i synnerhet på grund av risken för persistenta reaktioner vid injektionsstället (till exempel svullnad, inflammation och sårbildning), som kan ha en negativ inverkan på livskvalitet, samt risken för trombocytopeni (lågt antal trombocyter i blodet), som kan utsätta patienterna för risk att få allvarliga blödningskomplikationer. Kommittén ifrågasatte också den föreslagna metoden för sterilisering av läkemedlet.

Vid tidpunkten för återkallandet ansåg CHMP därför att nyttan med Kyndrisa inte övervägde riskerna.

Vilka skäl angav företaget till att dra tillbaka sin ansökan?

I företagets skrivelse till myndigheten om återkallandet av ansökan uppgav företaget att det inte skulle kunna åtgärda CHMP:s anmärkningar angående resultaten av de kliniska studierna inom den förväntade tidsplanen.

Företagets skrivelse om återkallandet av ansökan finns [här](#)

Vilka följder får återkallandet för patienter som deltar i kliniska prövningar eller s.k. compassionate use-program?

Företaget uppgav att det avser att upphöra med utvecklingen av läkemedlet, men att det tänker samarbeta med läkare, patienter och lokala tillsynsmyndigheter så att patienter som genomgår nuvarande behandling ska få tillgång till det återstående lagret av Kyndrisa.

Om du deltar i en klinisk prövning och vill få mer information om din behandling kan du kontakta den läkare som ger dig läkemedlet.