



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

15. november 2019
EMA/613378/2019
EMA/H/C/002697/II/0029

Tilbagetrækning af ansøgningen om ændring af markedsføringstilladelsen for Opsumit (macitentan)

Janssen-Cilag International NV tilbagetrak sin ansøgning om anvendelse af Opsumit til behandling af kronisk tromboembolisk pulmonal hypertension, som er en tilstand, hvor blodtrykket i lungerne er forhøjet.

Virksomheden trak ansøgningen tilbage den 8. november 2019.

Hvad er Opsumit, og hvad anvendes det til?

Opsumit er et lægemiddel, der anvendes til langvarig behandling af pulmonal arteriel hypertension, hvor et unormalt højt blodtryk i lungerne medfører symptomer som f.eks. åndenød og træthed. Ubehandlet kan sygdommen medføre en svækkelse af hjertemuskulaturen eller hjertesvigt.

Opsumit har været godkendt i EU siden december 2013. Det indeholder det aktive stof macitentan og fås som tabletter.

Yderligere information om de nuværende anvendelser af Opsumit findes på agenturets websted: ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/opsumit

Hvilken ændring havde virksomheden ansøgt om?

Virksomheden ansøgte om en udvidelse af brugen af Opsumit til behandling af kronisk tromboembolisk pulmonal hypertension, der minder om pulmonal arteriel hypertension, men som har en anden årsag (primært blodpropper).

Opsumit skulle anvendes hos patienter med kronisk tromboembolisk pulmonal hypertension, der ikke kan korrigeres ved kirurgi, og som medfører ubehagelige symptomer som f.eks. åndenød eller brystmerter, når patienten udfører normal fysisk aktivitet (WHO-funktionsklasse II og III).

Hvordan virker Opsumit?

Det aktive stof i Opsumit, macitentan, virker ved at blokere de receptorer i blodkarrene, der er målreceptorer for endothelin (et stof, som dannes naturligt i kroppen). Når endothelin binder til disse receptorer, udløser det en indsnævring af blodkarvæggene, hvilket øger blodtrykket. Ved at blokere

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



disse receptorer i lungerne medvirker macitentan til at stoppe denne virkning; dermed udvides blodkarrene i lungerne, og det får blodtrykket til at falde.

Opsumit forventedes at virke hos patienter med kronisk tromboembolisk pulmonal hypertension på samme måde, som det virker hos patienter med pulmonal arteriel hypertension.

Hvilken dokumentation fremlagde virksomheden til støtte for sin ansøgning?

Virksomheden fremlagde data fra et hovedstudie med 80 patienter med kronisk tromboembolisk pulmonal hypertension, der ikke kunne korrigeres ved kirurgi, hvor patienterne fik enten Opsumit eller placebo (ikke-aktivt stof). I studiet undersøgte man forbedringer i lungekarmodstand efter fire måneder. Lungekarmodstand er et mål for, hvor hårdt hjertet skal arbejde for at skubbe blodet gennem blodkarrene i lungerne.

Hvor langt var vurderingen af ansøgningen nået, da den blev trukket tilbage?

Ansøgningen blev trukket tilbage, efter at Det Europæiske Lægemiddelagentur havde vurderet den dokumentation, som virksomheden oprindeligt havde fremlagt, og udarbejdet spørgsmål til virksomheden. Da agenturet havde vurderet virksomhedens svar på spørgsmålene, var der fortsat visse uafklarede punkter.

Hvad anbefalede agenturet på daværende tidspunkt?

På baggrund af gennemgangen af dataene og virksomhedens svar på agenturets spørgsmål på tidspunktet for tilbagetrækningen af ansøgningen havde agenturet visse betænkeligheder og var af den foreløbige opfattelse, at Opsumit ikke kunne være blevet godkendt til behandling af kronisk tromboembolisk pulmonal hypertension.

Resultaterne af hovedstudiet var vanskelige at fortolke, og der var adskillige afvigelser fra forsøgsprotokollen, der kan have gjort resultaterne mindre pålidelige. Derfor var agenturet på tidspunktet for tilbagetrækningen af den opfattelse, at virksomheden ikke havde fremlagt tilstrækkelige oplysninger til at underbygge ansøgningen om ændring af markedsføringstilladelsen for Opsumit.

Hvilke begrundelser gav virksomheden for tilbagetrækningen af ansøgningen?

I sit [brev](#) til agenturet om tilbagetrækningen af ansøgningen anførte virksomheden, at den havde tilbagetrukket sin ansøgning efter tilbagemeldingen fra EMA's Udvalg for Humanmedicinske Lægemidler (CHMP) om studiet og den måde, det var udført på.

Hvilke konsekvenser har tilbagetrækningen for patienter, der deltager i kliniske studier?

Virksomheden har til CHMP oplyst, at den ikke forudser nogen konsekvenser for de igangværende kliniske studier med Opsumit. Hvis du deltager i et klinisk studie og har behov for yderligere oplysninger om din behandling, kan du kontakte den læge, der behandler dig.

Hvad sker der med Opsumit til behandling af pulmonal arteriel hypertension?

Der er ingen konsekvenser for brugen af Opsumit i de aktuelt godkendte indikationer.