



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

13. november 2020
EMA/594092/2020
EMA/H/C/005123

Tilbagetrækning af ansøgningen om markedsføringstilladelse for Puldysa (idebenon)

Santhera Pharmaceuticals (Deutschland) GmbH har tilbagetrukket sin ansøgning om markedsføringstilladelse for Puldysa til behandling af Duchennes muskeldystrofi.

Virksomheden trak ansøgningen tilbage den 28. oktober 2020.

Hvad er Puldysa, og hvad forventedes det anvendt til?

Puldysa blev udviklet som et lægemiddel til behandling af forværrende vejrtrækningsfunktion hos patienter med Duchennes muskeldystrofi, som ikke får kortikosteroider.

Lægemidlet indeholder det aktive stof idebenon og skulle markedsføres som filmovertrukne kapsler til indtagelse gennem munden.

Det blev udviklet som et "hybridlægemiddel". Det vil sige, at det var hensigten, at lægemidlet skulle svare til et "referencelægemiddel", der indeholder det samme aktive stof, og som allerede er godkendt i Den Europæiske Union. Referencelægemidlet er Mnesis, som er godkendt i Italien til behandling af glaukom.

Puldysa blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 20. marts 2007 til behandling af Duchennes muskeldystrofi. Yderligere oplysninger om udpegelsen som lægemiddel til sjældne sygdomme findes [her](#).

Hvordan virker Puldysa?

Det aktive stof i Puldysa, idebenon, er en antioxidant, der virker på mitokondrierne (cellernes indvendige strukturer, der producerer den energi, cellerne behøver for at fungere). Hos patienter med Duchennes muskeldystrofi fungerer mitokondrierne ikke, som de skal, og de producerer giftige former af ilt, der skader muskelcellerne. Idebenon menes at forbedre energiproduktionen ved at genetablere mitokondriernes funktion og på den måde forebygge cellebeskadigelse og muskeltab, herunder også i vejrtrækningsmusklerne.

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



Idebenon er desuden godkendt i EU til behandling af kognitive og adfærdsmæssige udfald, Friedreichs ataksi og Lebers hereditære opticus-neuropati.

Hvilken dokumentation fremlagde virksomheden i forbindelse med ansøgningen?

Virksomheden fremlagde resultaterne af et hovedstudie hos patienter med Duchennes muskeldystrofi, som ikke blev behandlet med kortikosteroider. I to studier blev Puldysa sammenlignet med placebo (en virkningsløs behandling), og virkningen blev bedømt på forbedringen af lungefunktionen eller ændringen i PEF (maksimal ekspiratorisk flow, som er en indikator for vejtrækningsfunktionen) efter et års behandling. I det tredje studie blev de patienter, der blev behandlet med Puldysa, fulgt længere med henblik på at se, om virkningerne på vejtrækningen holdt sig.

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 havde fremlagt, og udarbejdet spørgsmål til virksomheden. Efter at agenturet havde vurderet virksomhedens svar på den sidste spørgsmålsrunde, 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 Puldysa ikke kunne være blevet godkendt til behandling af forværende vejtrækningsfunktion hos patienter med Duchennes muskeldystrofi, som ikke får kortikosteroider.

Agenturet fandt, at de gavnlige virkninger på lungefunktionen ikke var de samme i alle studierne, og at det var uklart, om de kunne opretholdes på lang sigt.

Derfor var agenturet på tidspunktet for tilbagetrækningen af den opfattelse, at fordelene ved Puldysa ikke opvejede risiciene.

Hvilke begrundelser gav virksomheden for tilbagetrækningen af ansøgningen?

I sit [brev](#) til agenturet om tilbagetrækningen af ansøgningen anførte virksomheden, at den trak sin ansøgning tilbage, fordi den havde måttet stoppe et igangværende hovedstudie, som forventedes at tilvejebringe yderligere dokumentation for Puldysa ved Duchennes muskeldystrofi, fordi målet med det ikke kunne nås.

Hvilke konsekvenser har tilbagetrækningen for patienter, der deltager i kliniske studier eller i programmer for anvendelse med særlig udleveringstilladelse?

Virksomheden har til agenturet oplyst, at alle kliniske studier og programmer for anvendelse med særlig udleveringstilladelse for Puldysa til Duchennes muskeldystrofi er ved at blive indstillet. Lægerne ved de kliniske studier vil kontakte patienterne for at tilrettelægge de endelige opfølgingsbesøg.

Hvis du deltager i et klinisk studie eller i et program for anvendelse med særlig udleveringstilladelse og har behov for yderligere oplysninger, kan du kontakte den læge, der behandler dig.