

London, den 26.06.2008
Dok. Ref. EMEA/391214/2008

**SPØRGSMÅL OG SVAR VEDRØRENDE TILBAGETRÆKNINGEN AF ANSØGNINGEN
OM MARKEDSFØRINGSTILLADELSE
for
LENALIDOMIDE CELGENE EUROPE**

Internationalt fællesnavn (INN): **lenalidomid**

Den 30. maj 2008 meddelte Celgene Europe Limited officielt Udvalget for Humanmedicinske Lægemidler (CHMP), at firmaet ønsker at tilbagetrække sin ansøgning om markedsføringstilladelse for Lenalidomide Celgene Europe til behandling af anæmi forårsaget af myelodysplastisk syndrom. Lenalidomide Celgene Europe blev udpeget som lægemiddel til sjældne sygdomme den 8. marts 2004.

Hvad er Lenalidomide Celgene Europe?

Lenalidomide Celgene er et lægemiddel, der indeholder det aktive stof lenalidomid. Lenalidomid har været godkendt i Den Europæiske Union siden 2007 under navnet Revlimid til behandling af multiple myelomer. Multiple myelomer er kræft i plasmacellerne i knoglemarven.

Hvad forventedes Lenalidomide Celgene Europe anvendt til?

Lenalidomide Celgene Europe forventedes anvendt til behandling af anæmi (lavt antal røde blodlegemer) forårsaget af myelodysplastisk syndrom (en tilstand, hvor knoglemarven ikke kan producere nok blodceller). I visse tilfælde kan myelodysplastisk syndrom medføre udvikling af akut myeloid leukæmi (en kræftform, der påvirker de hvide blodlegemer). Lenalidomide Celgene Europe skulle anvendes til patienter, der var afhængige af blodtransfusioner til behandling af deres anæmi og hos hvem myelodysplastisk syndrom var forbundet med en bestemt genetisk mutation (mangel på en del af kromosom nummer 5) og en lav til mellemstor risiko for, at det udviklede sig til leukæmi eller fik en dødelig udgang.

Hvordan forventes Lenalidomide Celgene Europe at virke?

Det aktive stof i Lenalidomide Celgene Europe, lenalidomid, er et immunmodulerende middel. Det betyder, at det påvirker aktiviteten af immunsystemet (kroppens naturlige forsvar). Det vides endnu ikke med nøjagtighed, hvordan lenalidomid virker ved myelodysplastisk syndrom, men det menes at blokere væksten af tumorceller i knoglemarven, mens normale knoglemarvsceller for lov at vokse, herunder de celler, der producerer røde blodceller.

Hvilken dokumentation fremlagde virksomheden i forbindelse med ansøgningen til CHMP?

Virkningerne af Lenalidomide Celgene Europe blev først afprøvet i forsøgsmodeller, inden de blev undersøgt hos mennesker.

Dets virkning blev undersøgt i en hovedundersøgelse, som blev udført på en række hospitaler og klinikker ('steder') i USA og Tyskland. Undersøgelsen omfattede 148 patienter med transfusionsafhængig anæmi, lav eller mellemstor (niveau 1) risiko for myelodysplastisk syndrom og mangel på en del af kromosom nr. 5 ('5q- mangel'). Undersøgelsen så på virkningerne af behandling med en daglig dosis på 10 mg Lenalidomide Celgene Europe enten givet løbende eller som en cyklus på tre uger med behandling efterfulgt af en uge uden behandling. Behandlingens virkning blev hovedsagelig bedømt på antallet af patienter, der blev 'transfusionsuafhængige', hvilket betyder, at deres anæmi var under kontrol, og at de ikke havde behov for en blodtransfusion i løbet af en otte ugers periode.

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

Vurderingen var afsluttet, og CHMP havde afgivet en negativ udtalelse, som var blevet bekræftet efter at den negative udtalelse var blevet taget op til fornyet overvejelse. Firmaet trak sin ansøgning tilbage, inden Europa-Kommissionen havde truffet en formel afgørelse.

Hvad anbefalede CHMP på daværende tidspunkt?

På baggrund af gennemgangen af dataene og virksomhedens besvarelse af CHMP's liste med spørgsmål på tidspunktet for tilbagetrækningen af ansøgningen havde CHMP afgivet en negativ udtalelse og anbefalede ikke udstedelse af markedsføringstilladelse for Lenalidomide Celgene Europe til behandling af anæmi forårsaget af myelodysplastisk syndrom.

Hvori bestod CHMP's vigtigste betænkeligheder?

Udvalget var bekymret over den måde undersøgelsen var blevet gennemført på, hvilket betød, at det var svært at vurdere sikkerheden af Lenalidomide Celgene Europe. Først og fremmest fordi undersøgelsen ikke sammenlignede lægemidlet med nogen anden behandling var det svært at fastslå, om behandling med Lenalidomide Celgene Europe øgede risikoen for udvikling af akut myeloid leukæmi. Desuden rejste et tilsyn på et af de steder, hvor hovedundersøgelsen fandt sted, visse spørgsmål på grund af den måde resultaterne var blevet registreret på, hvilket yderligere kunne have påvirket hovedundersøgelsens troværdighed.

På tilbagetrækningstidspunktet var det derfor CHMP's opfattelse, at fordelene ved Lenalidomide Celgene Europe ikke var blevet tilstrækkeligt påvist, og at de eventuelle fordele ikke opvejede de påviste risici.

Hvilke begrundelser gav virksomheden for tilbagetrækningen af ansøgningen?

Brevet fra virksomheden, hvori EMEA underrettes om tilbagetrækning af ansøgningen, kan ses [her](#).

Hvilke konsekvenser har tilbagetrækningen for patienter, der deltager i kliniske undersøgelser med Lenalidomide Celgene Europe eller i programmer for anvendelse med særlig udleveringstilladelse?

Virksomheden har informeret CHMP om, at den vil sørge for at lenalidomid fortsat er til rådighed for patienter, som deltager i kliniske undersøgelser eller i programmer for anvendelse med særlig udleveringstilladelse. Hvis du deltager i en klinisk undersøgelse eller i et program for anvendelse med særlig udleveringstilladelse og har behov for yderligere oplysninger om din behandling, bedes du kontakte den læge, der giver dig behandlingen.

Hvad sker der med Revlimid, som anvendes til behandling af andre sygdomme?

Tilbagetrækningen for ingen konsekvenser for anvendelsen af Revlimid, som også indeholder lenalidomid i sin godkendte indikation. Benefit/risk-forholdet for Revlimid forbliver uændret.