



European Medicines Agency

London, den 19. februar 2009

Dok. ref. EMEA/246568/2009

**Spørgsmål og svar vedrørende tilbagetrækningen af ansøgningen om
markedsføringstilladelse
for
Vorinostat MSD**

Internationalt fællesnavn (INN): **vorinostat**

Den 13. februar 2009 meddelte Merck Sharp & Dohme Limited officielt Udvalget for Humanmedicinske Lægemidler (CHMP), at firmaet ønsker at tilbagetrække sin ansøgning om markedsføringstilladelse for Vorinostat MSD til behandling af voksne med fremskreden kutant T-celle lymfon. Vorinostat MSD blev udpeget som lægemiddel til sjældne sygdomme den 21. juni 2004.

Hvad er Vorinostat MSD?

Vorinostat MSD er et lægemiddel, som indeholder det aktive stof vorinostat. Det skulle have været leveret som kapsler.

Hvad forventedes Vorinostat MSD anvendt til?

Vorinostat MSD forventedes anvendt til at behandle voksne med fremskreden kutant T-celle lymfon (CTCL). CTCL er en sjælden form for lymfon (kræft i lymfevævet), hvor der er visse hvide blodlegemer (T-celler), som vokser i huden. Vorinostat MSD skulle have været anvendt til patienter, hvis kræft var progredierende (i forværring), persisterende (ikke reagerede på behandlingen) eller recidiverende (blev ved med at vende tilbage), og som ikke havde reageret på mindst to andre systemiske (hele kroppen) behandlinger.

Hvordan forventes Vorinostat MSD at virke?

Det aktive stof i Vorinostat MSD, vorinostat, blokerer aktiviteten af proteiner kaldet histone deacetylases, som medvirker til at "tænde" og "slukke" for gener i celler. Ved CTCL forventedes Vorinostat MSD at stoppe de gener, som forhindrer, at delingen og væksten af tumorceller bliver slukket på de rette tidspunkter. Dette forventedes at føre til et fald i væksten og delingen af T-cellerne.

Hvilken dokumentation fremlagde virksomheden i forbindelse med ansøgningen til CHMP?

Virkningerne af Vorinostat MSD blev først afprøvet i forsøgsmodeller, inden de blev undersøgt hos mennesker.

Firmaet fremlagde resultaterne af en hovedundersøgelse, hvori 74 voksne med fremskreden CTCL blev givet Vorinostat MSD. Alle patienterne havde fremskreden, persisterende eller recidiverende sygdom og havde fået to andre systemiske behandlinger. Vorinostat MSD blev ikke sammenlignet med nogen anden behandling. Det primære effektmål var forandringen i, hvor meget huden var berørt af sygdommen, og hudlæsionernes sværhedsgrad.

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

Ansøgningen var på dag 206, da firmaet trak den tilbage. Efter at CHMP havde vurderet virksomhedens besvarelse af spørgsmålene på listen, var der fortsat visse uafklarede spørgsmål. CHMP er normalt op til 210 dage om at vurdere en ny ansøgning. Efter gennemgang af den oprindelige dokumentation udarbejder udvalget på dag 120 en liste over spørgsmål, som sendes til virksomheden. Når virksomheden har besvaret spørgsmålene, gennemgår udvalget besvarelsen og kan, inden udvalget afgiver en udtalelse, stille eventuelle supplerende spørgsmål til virksomheden på dag 180. Efter at udvalget har afgivet sin udtalelse, er Europa-Kommissionen sædvanligvis ca. to måneder om at udstede tilladelsen.

7 Westferry Circus, Canary Wharf, London E14 4HB, UK
Tel. (44-20) 74 18 84 00 Fax (44-20) 75 23 71 29
E-mail: mail@emea.europa.eu <http://www.emea.europa.eu>

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 udvalget visse betænkeligheder og var af den foreløbige opfattelse, at Vorinostat MSD ikke kunne have været godkendt til behandling af fremskreden CTCL.

Hvori bestod CHMP's vigtigste betænkeligheder?

Udvalget var betænkeligt over den måde, hvorpå hovedundersøgelsen var udformet. Sikkerheden og virkningen af Vorinostat MSD kunne ikke vurderes på behørig vis, fordi lægemidlet ikke var blevet sammenlignet med nogen anden behandling. I undersøgelsen havde man endvidere ikke set nærmere på, hvor længe patienterne overlevede. CHMP var især betænkelig over risikoen for tromboemboliske komplikationer (problemer forårsaget af dannelsen af blodpropper i blodkarrene) hos patienter, som tog Vorinostat MSD.

På tilbagetrækningstidspunktet var det derfor udvalgets opfattelse, at fordelene ved Vorinostat MSD 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 eller i programmer for anvendelse af Vorinostat MSD med særlig udleveringstilladelse?

Virksomheden har informeret CHMP om, at tilbagetrækningen ingen konsekvenser får for patienter, som nu deltager i kliniske undersøgelser, i programmer for anvendelse med særlig udleveringstilladelse eller i programmer for navngivne patienter med særlig udleveringstilladelse med Vorinostat MSD.

Hvis du deltager i en klinisk undersøgelse, i et program for anvendelse med særlig udleveringstilladelse eller i et program for navngivne patienter og har behov for yderligere oplysninger om din behandling, bedes du kontakte den læge, der giver dig behandlingen.