

London, den 20. August 2009  
Dok. ref. EMEA/700529/2009  
EMA/H/C/1069

**Spørgsmål og svar vedrørende tilbagetrækningen af ansøgningen om  
markedsføringstilladelse  
for  
Bosatria  
mepolizumab**

Den 28. juli 2009 meddelte Glaxo Group Limited officielt Udvalget for Humanmedicinske Lægemidler (CHMP), at virksomheden ønsker at trække sin ansøgning om markedsføringstilladelse tilbage for Bosatria til behandling af voksne med hypereosinofilt syndrom med det formål at begrænse eller overflødig gøre behovet for kortikosteroidbehandling og at mindske eosinofiltallet i blodet.

**Hvad er Bosatria?**

Bosatria er et pulver, der anvendes til at fremstille en infusionsvæske, opløsning (drop i en vene). Det indeholder det aktive stof mepolizumab.

**Hvad forventedes Bosatria anvendt til?**

Bosatria forventedes anvendt til behandling af voksne med hypereosinofilt syndrom. Det er en sygdom, hvor eosinofiler (en type hvide blodlegemer) begynder at formere sig uhæmmet og samler sig i vævet på mange organer, og det kan medføre skader på organer som hjertet, leveren og lungerne. Bosatria forventedes anvendt til patienter, som mangler et gen, der kaldes "FIP1L1-PDGRF-fusionsgenet", med det formål at begrænse eller overflødig gøre behandlingen af patienter med kortikosteroider (steroider, der anvendes til at behandle denne sygdom) og at mindske eosinofilniveauet i blodet.

Den 29. juli 2004 blev Bosatria udpeget som lægemiddel til sjældne sygdomme til behandling af hypereosinofilt syndrom.

**Hvordan forventes Bosatria at virke?**

Det aktive stof i Bosatria er mepolizumab, som er et monoklonalt antistof. Et monoklonalt antistof er et antistof (en type protein), der er opbygget, så det genkender og binder sig til en bestemt struktur (kaldet et antigen), som findes i organismen. Mepolizumab er udviklet til at binde sig til et kemisk signalstof kaldet interleukin 5 (IL-5), som har betydning for væksten af eosinofiler. Det forventedes, at mepolizumab ved at binde sig til IL-5 kunne reducere ophobningen af eosinofiler i blodet og dermed lindre symptomerne hos patienter med hypereosinofilt syndrom.

**Hvilken dokumentation fremlagde virksomheden i forbindelse med ansøgningen til CHMP?**

Virkningerne af Bosatria blev først afprøvet i forsøgsmodeller, inden de blev undersøgt hos mennesker. I en hovedundersøgelse, der omfattede 85 voksne med hypereosinofilt syndrom, blev Bosatria sammenlignet med placebo (en virkningsløs behandling). Alle patienter manglede FIP1L1-PDGRF-fusionsgenet og modtog behandling med prednison (et kortikosteroid), der var med til at stabilisere deres symptomer. I løbet af undersøgelsen fik patienterne enten Bosatria eller placebo, mens den mængde prednison, de fik, gradvist blev reduceret. Det primære effektmål var antallet af patienter, som kunne få deres daglige dosis prednison reduceret til 10 mg eller derunder i en periode på otte uger.

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

Ansøgningsproceduren var ved dag 180, da virksomheden trak sin ansøgning 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 CHMP på dag 120 en liste over spørgsmål, som sendes til virksomheden. Når virksomheden har besvaret spørgsmålene, gennemgår CHMP besvarelsen og kan, inden udvalget afgiver en udtalelse, stille eventuelle supplerende spørgsmål til virksomheden på dag 180. Efter at CHMP har afgivet sin udtalelse, er Europa-Kommissionen sædvanligvis ca. to måneder om at træffe afgørelse om denne udtalelse.

**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 visse betænkeligheder og var af den foreløbige opfattelse, at Bosatria ikke kunne have været godkendt til behandling af voksne, som har hypereosinofilt syndrom og mangler FIP1L1-PDGFR-fusionsgenet, med det formål at begrænse eller overflødigøre behovet for kortikosteroidbehandling og at mindske eosinofiltallet.

**Hvori bestod CHMP's vigtigste betænkeligheder?**

CHMP var af den opfattelse, at hovedundersøgelsen ikke gav tilstrækkelig dokumentation for, at Bosatria var effektivt til at begrænse behovet for kortikosteroidbehandling. En anden af CHMP's betænkeligheder var, at den metode, som virksomheden anvender til at bestemme mængden af de forskellige former for det aktive stof i lægemidlet, ikke var velegnet. På tilbagetrækningstidspunktet var det derfor CHMP's opfattelse, at fordelene ved Bosatria ikke opvejede risiciene til behandling af voksne, som har hypereosinofilt syndrom og mangler FIP1L1-PDGFR-fusionsgenet, med det formål at begrænse eller overflødigøre behovet for kortikosteroidbehandling og at mindske eosinofiltallet.

**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 Bosatria eller i programmer for anvendelse af Bosatria med særlig udleveringstilladelse?**

Virksomheden har informeret CHMP om, at Bosatria fortsat vil være tilgængeligt for patienter i den åbne forlængelsesundersøgelse og i programmer 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.

Sammendraget af udtalelsen fra Udvalget for Lægemidler til Sjældne Sygdomme om Bosatria kan ses [her](#).