

23. juni 2017  
EMA/CHMP/380586/2017  
EMA/H/C/0004330

## Spørgsmål og svar

---

# Tilbagetrækning af ansøgningen om markedsføringstilladelse for Elmisol (levamisol)

Den 29. maj 2017 meddelte ACE Pharmaceuticals BV officielt Udvalget for Lægemidler til Mennesker (CHMP), at virksomheden ønskede at trække sin ansøgning om markedsføringstilladelse tilbage for Elmisol til behandling af nefrotisk syndrom.

## Hvad er Elmisol?

Elmisol er et lægemiddel, der indeholder det aktive stof levamisolhydrochlorid. Det skulle have været leveret som tabletter (5, 10, 25 og 50 mg).

## Hvad forventedes Elmisol anvendt til?

Elmisol skulle have været anvendt til børn fra 2-årsalderen til behandling af nefrotisk syndrom. Nefrotisk syndrom er en nyresygdom, som er kendetegnet ved store mængder protein i urinen, og som medfører væskeansamlinger i kroppen med hævelser (ødem), forhøjet blodtryk og vægtøgning. Elmisol skulle have været anvendt til patienter, hvor symptomerne fortsatte med at vende tilbage, efter at patienterne havde responderet på indledende behandling med kortikosteroidholdige lægemidler (steroidfølsomt nefrotisk syndrom).

Elmisol blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 28. oktober 2005 mod nefrotisk syndrom. Yderligere oplysninger om udpegelsen til lægemiddel til sjældne sygdomme findes [her](#).

## Hvordan virker Elmisol?

Levamisol er i mange år blevet anvendt til at behandle forskellige tilstande, herunder ormeinfektioner og kræft. Det vides ikke helt, hvordan levamisol virker ved nefrotisk syndrom, men det vides at have indvirkning på immunsystemet (kroppens naturlige forsvar). Man mener, at immunsystemet hos

patienter med nefrotisk syndrom fejlagtigt angriber nyrerne, hvilket resulterer i, at der lækkes proteiner fra nyrerne ud i urinen.

Ved at undertrykke immunsystemet med kortikosteroidholdige lægemidler kan sygdommen holdes under kontrol, men disse lægemidler kan have væsentlige bivirkninger og påvirke væksten hos unge patienter. Levamisol menes at ændre immunsystemets virkning og hjælpe med at kontrollere sygdommen, så patienten har brug for en lavere dosis kortikosteroider.

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

Virksomheden fremlagde resultaterne af undersøgelser af lægemidlets kvalitet, sikkerhed og virkning, herunder information fra litteraturen. I hovedundersøgelsen blev levamisol sammenlignet med placebo (en uvirksom behandling) hos børn med nefrotisk syndrom, der var blevet kontrolleret med kortikosteroider. I undersøgelsen så man nærmere på lægemidlets evne til at forhindre sygdommen i at vende tilbage.

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

Ansøgningen blev trukket tilbage, efter CHMP havde vurderet den dokumentation, som virksomheden oprindeligt havde fremlagt, og udarbejdet en liste med spørgsmål. Virksomheden havde endnu ikke besvaret spørgsmålene, da ansøgningen blev trukket tilbage.

### **Hvad anbefalede CHMP på daværende tidspunkt?**

På baggrund af gennemgangen af dataene på tidspunktet for tilbagetrækningen af ansøgningen havde CHMP haft visse betænkeligheder og var af den foreløbige opfattelse, at Elmisol ikke kunne være blevet godkendt til behandling af nefrotisk syndrom. CHMP havde betænkeligheder med hensyn til visse aspekter af den måde, hovedundersøgelsen var blevet udført på, og hvorvidt disse var i overensstemmelse med kravene om god klinisk praksis (GCP). Andre betænkeligheder omfattede risikoen for doseringsfejl, eftersom de forskellige tabletstyrker kunne forveksles, den måde, som stabiliteten af det aktive stof i tabletterne var blevet testet på, samt den utilstrækkelige information om lægemidlets virkningsmåde og fordeling i kroppen og risiciene for interaktioner med andre lægemidler.

Derfor var CHMP på tidspunktet for tilbagetrækningen af den opfattelse, at fordelene ved Elmisol 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 ansøgningen tilbage, fordi der var betænkeligheder med hensyn til hovedundersøgelsen, som gjorde, at den ikke kunne anvendes som støtte for ansøgningen.

Brevet om tilbagetrækningen kan ses [her](#).

## **Hvilke konsekvenser har tilbagetrækningen for patienter, der deltager i kliniske undersøgelser?**

Virksomheden har oplyst CHMP om, at beslutningen ikke vil få konsekvenser for patienter, som i øjeblikket deltager i kliniske undersøgelser med Elmisol.

Hvis du deltager i en klinisk undersøgelse og har behov for mere information om din behandling, kan du kontakte den læge, der behandler dig.