

29. juni 2018
EMA/431413/2018
EMA/H/C/004736

Tilbagetrækning af ansøgningen om markedsføringstilladelse for Graspa (L-asparaginase)

Den 22. juni 2018 meddelte Erytech Pharma S.A. officielt Udvalget for Lægemidler til Mennesker (CHMP), at virksomheden ønsker at tilbagetrække sin ansøgning om markedsføringstilladelse for Graspa til behandling af akut lymfatisk leukæmi (ALL).

Hvad er Graspa?

Graspa er et kræftlægemiddel, der indeholder det aktive stof L-asparaginase, som er indkapslet i røde blodlegemer. Asparaginase er i mange år blevet anvendt til at behandle kræft, og det er godkendt i en række EU-lande under forskellige handelsnavne. Graspa skulle gives ved infusion via et drop i en blodåre.

Hvad forventedes Graspa anvendt til?

Graspa skulle anvendes i kombination med andre kræftlægemidler til at behandle voksne og børn med ALL, som ikke var relateret til en specifik genetisk forandring (såkaldt Philadelphia-kromosom-negativ ALL). Det skulle anvendes, hvis ALL'en ikke blev forbedret med standardbehandling, eller hvis den vendte tilbage efter standardbehandling.

Graspa blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 27. oktober 2006 mod akut lymfatisk leukæmi. Yderligere oplysninger om lægemidler til sjældne sygdomme kan findes [her](#).

Hvordan virker Graspa?

Asparagin er en aminosyre, der dannes af raske celler i kroppen. Celler med lymfatisk leukæmi kan imidlertid ikke danne aminosyren, og de tager den derfor fra blodet, da de har brug for den for at kunne vokse hurtigt. Enzymet L-asparaginase ødelægger asparaginet i blodet; dermed kan leukæmiceller ikke få denne aminosyre, og det får dem til at dø.

Graspa indeholder røde blodlegemer med indkapslet L-asparaginase, da det forventedes, at dette ville gøre det muligt for enzymet at virke, idet det beskyttede enzymet mod at blive nedbrudt i blodet og mod antistoffer, der kunne binde til det og få det til at holde op med at virke.

Hvilken dokumentation fremlagde virksomheden i forbindelse med ansøgningen til CHMP?

Virksomheden fremlagde data fra et hovedstudie, der sammenlignede Graspa med asparaginase (der ikke var indkapslet i blodlegemer) hos 80 patienter i alderen 1-55 år, som havde Philadelphia-kromosom-negativ ALL, der ikke var blevet bedre med anden behandling, eller som var vendt tilbage.

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

Ansøgningen blev trukket tilbage, efter at CHMP havde vurderet den dokumentation, 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 Graspa ikke kunne være blevet godkendt til behandling af akut lymfatisk leukæmi. CHMP var betænkelig ved, at lægemidlet indeholder en anden type asparaginase end den, der var anvendt i kliniske studier, og at de fremlagte data ikke var tilstrækkelige til at påvise, hvordan lægemidlet opfører sig i kroppen, eller hvor godt det virker sammenholdt med andre asparaginase-midler. Data var også for begrænsede til at påvise i hvilken grad, antistoffer reducerede virkningen af Graspa, dets sikkerhed hos børn og efter gentagne behandlinger.

Derfor var CHMP på tidspunktet for tilbagetrækningen af den opfattelse, at fordelene ved Graspa ikke opvejede risiciene, da virkningen ikke var blevet påvist.

Hvilke begrundelser gav virksomheden for tilbagetrækningen af ansøgningen?

I sit brev til agenturet om tilbagetrækningen af ansøgningen anførte virksomheden, at de fremlagte data ikke var tilstrækkelige til at konkludere, at fordelene opvejer risiciene.

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

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

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

Hvis du deltager i en klinisk undersøgelse med Graspa og har behov for yderligere oplysninger om din behandling, kan du kontakte den læge, der behandler dig.