

London, den 22. oktober 2009  
Dok. ref. EMEA/745171/2009  
EMEA/H/C/994

**Spørgsmål og svar vedrørende tilbagetrækningen af ansøgningen om  
markedsføringstilladelse  
for  
Opaxio  
*paclitaxel poliglumex***

Den 21. september 2009 meddelte CTI Life Sciences Ltd officielt Udvalget for Humanmedicinske Lægemidler (CHMP), at virksomheden ønsker at trække sin ansøgning om markedsføringstilladelse tilbage for Opaxio som førstevalgsbehandling til patienter med fremskreden ikke-småcellet lungekræft, som har en ECOG-performancestatus på 2.

**Hvad er Opaxio?**

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

**Hvad forventedes Opaxio anvendt til?**

Opaxio forventedes anvendt til patienter med fremskreden ikke-småcellet lungekræft, som har en ECOG-performancestatus på 2. ECOG-performancestatus er en skala, der viser, hvor syg en kræftpatient er. En performancestatus på 2 betyder, at patienten kan klare sig selv uden hjælp, men er for syg til at udføre nogen form for arbejde.

**Hvordan forventes Opaxio at virke?**

Det forventes, at det aktive stof i Opaxio, paclitaxel poliglumex, omdannes til paclitaxel i kræftcellerne. Paclitaxel virker ved at hæmme kræftcellernes evne til at nedbryde det interne "skelet", som gør det muligt for dem at dele og formere sig. Når skelettet stadig er der, kan cellerne ikke dele sig, og de dør efterhånden.

Paclitaxel er et kræftlægemiddel, der har kunnet fås i Den Europæiske Union siden 1993. I Opaxio er paclitaxel forbundet med poliglumex for at gøre det mere opløseligt.

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

Virkningerne af Opaxio blev først afprøvet i forsøgsmodeller, inden de blev undersøgt hos mennesker. Virksomheden fremlagde resultaterne af en hovedundersøgelse, der omfattede 477 patienter med fremskreden ikke-småcellet lungekræft og en ECOG-performancestatus på 2. I denne undersøgelse blev Opaxio sammenlignet med gemcitabin eller vinorelbin (to andre kræftlægemidler). Det primære effektmål var, hvor længe patienterne overlevede.

**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 Opaxio ikke kunne have været godkendt som førstevalgsbehandling til patienter med fremskreden ikke-småcellet lungekræft, som har en ECOG-performancestatus på 2.

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

CHMP bemærkede, at hovedundersøgelsen ikke viste Opaxios virkning hos patienter med fremskreden ikke-småcellet lungekræft, som har en ECOG-performancestatus på 2. Udvalget delte ikke virksomhedens opfattelse af, at undersøgelsen viste, at Opaxio var mindst lige så effektivt som sammenligningslægemidlerne, eftersom det ikke fremgik klart, at sammenligningslægemidlerne selv var effektive hos den type patienter, der deltog i hovedundersøgelsen. Desuden viste undersøgelserne ikke, at Opaxio var mere effektivt end de to sammenligningslægemidler. CHMP havde også betænkeligheder med hensyn til lægemidlets bivirkninger, navnlig neuropati (nerveskader) og uforklarlige dødsfald. Der var ligeledes betænkeligheder med hensyn til urenheder i lægemidlet og den måde, som paclitaxel frigives og fordeles i kroppen på, når Opaxio indgives.

#### **Hvilke begrundelser gav virksomheden for tilbagetrækningen af ansøgningen?**

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

#### **Hvilke konsekvenser har tilbagetrækningen for patienter, der deltager i kliniske undersøgelser med Opaxio eller i programmer for anvendelse af Opaxio med særlig udleveringstilladelse?**

Virksomheden har informeret CHMP om, at tilbagetrækningen ingen konsekvenser får for patienter i Den Europæiske Union (EU), eftersom der ikke er nogen igangværende kliniske undersøgelser eller programmer med særlig udleveringstilladelse i EU.

Uden for EU fortsætter virksomheden dog med at undersøge brugen af Opaxio ved adskillige kræfttyper, herunder æggestokkræft, øsofaguskræft og ikke-småcellet lungekræft.