

27. maj 2016
EMA/358774/2016
EMA/H/C/003978

Spørgsmål og svar

Tilbagetrækning af ansøgningen om markedsføringstilladelse for Opsiria (sirolimus)

Den 20. maj 2016 meddelte Santen Oy officielt til Udvalget for Lægemidler til Mennesker (CHMP), at virksomheden ønsker at trække sin ansøgning tilbage om markedsføringstilladelse for Opsiria til behandling af ikke-smitsom uveitis.

Hvad er Opsiria?

Opsiria er et lægemiddel, der indeholder det aktive stof sirolimus. Det var meningen, at det skulle leveres som en injektionsvæske, der skulle injiceres i øjet.

Hvad forventedes Opsiria anvendt til?

Opsiria forventedes at blive anvendt til behandling af ikke-smitsom uveitis (betændelse i det mellemste lag i øjnene, tunica vasculosa bulbi). Betændelsen kan medføre ubehag, smerter, synsforstyrrelser og helt eller delvist synstab.

Opsiria blev udpeget som lægemiddel til sjældne sygdomme den 30. august 2011 til behandling af kronisk ikke-smitsom uveitis. Yderligere oplysninger findes her: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Hvordan forventes Opsiria at virke?

Det aktive stof i Opsiria, sirolimus, forventes at virke ved at blokere et enzym, der hedder "mammalt mål for rapamycin" (mTOR). Da mTOR er involveret i aktiveringen og udbredelsen af T-lymfocytter (hvide blodlegemer, der spiller en rolle i betændelse), forventes sirolimus at mindske betændelsen ved kronisk ikke-smitsom uveitis.

Sirolimus er blevet anvendt i mange år til forebyggelse af organafstødning efter en transplantation.

Hvilken dokumentation fremlagde virksomheden i forbindelse med ansøgningen til CHMP?

Opsiria er undersøgt i én hovedundersøgelse med 347 patienter med ikke-smitsom uveitis. I undersøgelsen blev Opsiria ikke sammenlignet med nogen anden behandling. Det primære mål for virkningen var antallet af patienter, hos hvem betændelsen forsvandt efter 5 måneders behandling.

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

Ansøgningen blev trukket tilbage, efter at CHMP havde vurderet den dokumentation, virksomheden havde indsendt, og stillet en række spørgsmål. Efter at CHMP havde vurderet virksomhedens besvarelse af den sidste runde spørgsmål, var der fortsat visse uafklarede punkter.

Hvad anbefalede CHMP på daværende tidspunkt?

På baggrund af gennemgangen af dataene og virksomhedens besvarelse af CHMP's lister med spørgsmål på tidspunktet for tilbagetrækningen af ansøgningen havde CHMP visse betænkeligheder og var af den foreløbige opfattelse, at Opsiria ikke kunne være blevet godkendt til behandling af ikke-smitsom uveitis. Dataene fra den kliniske undersøgelse var ikke tilstrækkelige til at påvise fordelene ved Opsiria, især hos europæiske patienter. Derudover satte udvalget spørgsmålstejn ved den foreslåede metode til sterilisering af lægemidlet.

På tidspunktet for tilbagetrækningen var CHMP derfor af den opfattelse, at fordelene ved Opsiria ikke var større end risiciene.

Hvilke begrundelser gav virksomheden for tilbagetrækningen af ansøgningen?

I det brev, hvori virksomheden orienterer udvalget om, at den trækker ansøgningen tilbage, erkender virksomheden, at der er behov for at indsende yderligere data om fordelene ved Opsiria fra en igangværende klinisk undersøgelse.

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

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

Virksomheden har til CHMP oplyst, at beslutningen ikke vil få konsekvenser for patienter, der på nuværende tidspunkt deltager i kliniske undersøgelser med Opsiria.

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