

20. januar 2011
EMA/13310/2011
EMA/H/C/001244

Spørgsmål og svar

Tilbagetrækning af ansøgningen om markedsføringstilladelse for Tekinex (omacetaxinmepesuccinat)

Den 11. januar 2011 meddelte ChemGenex Europe SAS officielt Udvalget for Lægemidler til Mennesker (CHMP), at virksomheden ønsker at trække sin ansøgning om markedsføringstilladelse tilbage for Tekinex beregnet til behandling af patienter med Philadelphia-kromosompositiv kronisk myeloid leukæmi, som har Bcr-Abl T315I-kinasemutationen, og hvis tidligere behandling med imatinib var slået fejl.

Hvad er Tekinex?

Tekinex er et lægemiddel, der indeholder det aktive stof omacetaxinmepesuccinat. Det var meningen, at det skulle kunne fås som pulver til injektionsvæske, opløsning.

Hvad forventedes Tekinex anvendt til?

Tekinex forventedes anvendt til behandling af voksne med Philadelphia-kromosompositiv (Ph+) kronisk myeloid leukæmi (CML, som er kræft i en type hvide blodlegemer, der kaldes granulocytter). Ph+ betyder, at nogle af patientens gener har flyttet rundt på sig selv, så de danner et særligt kromosom, der kaldes Philadelphia-kromosomet, som producerer et enzym, Bcr-Abl-kinase, der fører til udviklingen af leukæmi.

Det var meningen, at det skulle anvendes hos patienter, hvis tidligere behandling med imatinib (et andet lægemiddel mod kræft) var slået fejl, muligvis på grund af en mutation i genet for Bcr-Abl-kinase, som kaldes T315I-mutationen.

Da antallet af patienter, der lider af CML, er lavt, betragtes sygdommen som "sjælden", og Tekinex blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 2. september 2004.

Hvordan forventes Tekinex at virke?

Det aktive stof i Tekinex, omacetaxin, er en proteinsyntese hæmmer. Det stammer fra harringtonin, som er et stof, der udvindes af aglaonema-planten. Det er uklart, hvordan det virker, men man mener, at det standser produktionen af Bcr-Abl-tyrosinkinaseenzymet.

Andre lægemidler, der er kendt som tyrosinkinasehæmmere, herunder imatinib, virker ved CML ved at binde sig direkte til Bcr-Abl-tyrosinkinaseenzymet. T315I-mutationen ændrer visse af enzymets egenskaber og gør det sværere for disse lægemidler at binde sig til det. Eftersom omacetaxin ikke virker på denne måde, bliver dets virkning ikke påvirket af T315I-mutationen. Tekinex forventedes således at virke hos Ph⁺-patienter med T315I-mutationen.

Hvilken dokumentation fremlagde virksomheden i forbindelse med ansøgningen til CHMP?

Virkningerne af Tekinex blev først afprøvet i forsøgsmodeller, inden de blev undersøgt hos mennesker. Virksomheden fremlagde resultaterne af en hovedundersøgelse, der omfattede 66 patienter med Philadelphia-positiv CML og T315I-mutation, hvis tidligere behandling med imatinib var slået fejl. Tekinex blev ikke sammenlignet direkte med nogen anden behandling. I undersøgelsen så man på, hvordan patienterne reagerede på behandling baseret på resultaterne af blodprøver, der blev taget for at måle, hvor aktiv kræften var.

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

Ansøgningsproceduren var ved dag 120, da virksomheden trak sin ansøgning tilbage. Det betyder, at CHMP havde vurderet den dokumentation, som virksomheden oprindeligt havde fremlagt, og udarbejdet en liste over spørgsmål. Virksomheden havde endnu ikke besvaret spørgsmålene, da ansøgningen blev trukket tilbage.

Hvad anbefalede CHMP på daværende tidspunkt?

På baggrund af dataenes gennemgang havde CHMP nogle betænkeligheder på det tidspunkt, hvor ansøgningen blev trukket tilbage, og CHMP var af den foreløbige opfattelse, at Tekinex ikke kunne have været godkendt.

CHMP var af den opfattelse, at der var usikkerhed omkring lægemidlets fordele. Der var ligeledes utilstrækkelig opfølgning af patienterne efter behandlingen, og udvalget var i tvivl om, hvorvidt lægemidlet er sikkert nok til, at patienterne selv kan tage det, sådan som det var virksomhedens mening. CHMP havde ligeledes betænkeligheder med hensyn til de doser, der blev anvendt i undersøgelsen, og de kriterier, der blev anvendt til at måle lægemidlets virkning. Endelig bemærkede udvalget, at der efter en inspektion af undersøgelsesklinikkerne var en vis inkonsekvens i anvendelsen, som kunne have påvirket undersøgelsesresultaternes pålidelighed.

Derfor var CHMP på tidspunktet for tilbagetrækningen af den opfattelse, at fordelene ved Tekinex ikke opvejer risiciene.

Hvilke begrundelser gav virksomheden for tilbagetrækningen af ansøgningen?

Brevet fra virksomheden, hvori EMA underrettes om tilbagetrækning af ansøgningen, kan ses under fanen "All documents".

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

Virksomheden har informeret CHMP om, at de igangværende kliniske undersøgelser med Tekinex vil fortsætte.

Sammendraget af udtalelsen fra Udvalget for Lægemidler til Sjældne Sygdomme om Tekinex findes på EMA's websted ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.