



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

18. oktober 2019
EMA/559309/2019
EMA/H/C/004468

Afslag på ansøgningen om markedsføringstilladelse for Vanflyta (quizartinib)

Det Europæiske Lægemiddelagentur har anbefalet afslag på ansøgningen om markedsføringstilladelse for Vanflyta, et lægemiddel til behandling af voksne med akut myeloid leukæmi (AML, kræft i de hvide blodlegemer).

Agenturet fremsatte sin udtalelse den 17. oktober 2019. Den virksomhed, der har ansøgt om tilladelse, Daiichi Sankyo Europe GmbH, kan anmode om, at udtalelsen bliver revurderet, inden for 15 dage efter at have modtaget udtalelsen.

Hvad er Vanflyta, og hvad forventedes det anvendt til?

Vanflyta blev udviklet som et kræftlægemiddel til behandling af såkaldt "FLT3-ITD-positiv" AML (dvs. kræftceller, der har en bestemt forandring i genet for FLT3-proteinet). Vanflyta skulle anvendes hos voksne patienter, hvis sygdom var kommet tilbage eller ikke reagerede på tidligere behandlinger, og som fortsat behandling efter en såkaldt hæmopoietisk stamcelletransplantation (HSCT, transplantation af celler, der kan udvikle sig til forskellige typer blodlegemer).

Vanflyta indeholder det aktive stof quizartinib og skulle markedsføres som tabletter.

Vanflyta blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 23. marts 2009 til behandling af AML. Yderligere oplysninger om lægemidler til sjældne sygdomme findes på agenturets websted under: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu309622.

Hvordan virker Vanflyta?

Det aktive stof i Vanflyta, quizartinib, er en såkaldt "receptortyrosinkinasehæmmer". Det virker ved at blokere for FLT3-proteinet, der er involveret i cellernes vækst og formering. Ved at blokere for FLT3 forventes quizartinib at forhindre kræftcellerne i at dele sig, så sygdommens udvikling bremses.



Hvilken dokumentation fremlagde virksomheden til støtte for sin ansøgning?

Virksomheden fremlagde resultaterne af et studie hos 367 patienter med FLT3-ITD-positiv AML, hvis sygdom kom tilbage eller ikke reagerede på behandling. Vanflyta blev sammenlignet med andre kræftlægemidler, idet det primære mål for virkning var samlet overlevelse (hvor længe patienterne lever) efter at have fået Vanflyta eller sammenligningspræparater.

Hvad var hovedårsagerne til at give afslag på ansøgningen om markedsføringstilladelse?

Selvom resultaterne fra hovedforsøget viste en marginal forbedring i samlet overlevelse for patienter, der fik Vanflyta, havde studiet væsentlige begrænsninger, som betød, at Vanflytas virkning ikke kunne påvises tilstrækkeligt.

Agenturet var derfor af den opfattelse, at fordelene ved Vanflyta ikke opvejede risiciene, og anbefalede afslag på ansøgningen om markedsføringstilladelse.

Hvilke konsekvenser har afslaget for patienter, der deltager i kliniske studier eller i programmer for anvendelse med særlig udleveringstilladelse?

Virksomheden har informeret agenturet om, at beslutningen ikke vil få konsekvenser for patienter, der deltager i kliniske studier med Vanflyta eller i programmer for anvendelse med særlig udleveringstilladelse.

Hvis du deltager i et klinisk studie eller i et program for anvendelse med særlig udleveringstilladelse og har behov for yderligere oplysninger om din behandling, kan du kontakte den læge, der behandler dig.