



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

23. marts 2018
EMA/165563/2018
EMA/H/C/000332

Tilbagetrækning af ansøgningen om ændring af markedsføringstilladelse for Aranesp (darbepoetin alfa)

Den 21. februar 2018 meddelte Amgen Europe B.V. officielt Udvalget for Lægemidler til Mennesker (CHMP), at virksomheden ønsker at trække sin ansøgning tilbage om at tilføje anvendelse til behandling af anæmi hos voksne patienter med myelodysplastisk syndrom til den eksisterende markedsføringstilladelse.

Hvad er Aranesp?

Aranesp er et lægemiddel, der i forvejen anvendes til behandling af lavt antal røde blodlegemer (anæmi), som medfører symptomer hos følgende patientgrupper:

- voksne og børn med langsigtet gradvist fald i nyrefunktionen (kronisk nyresvigt)
- voksne, der får kemoterapi for kræft, der ikke udgår fra knoglemarven (ikke-myeloid kræft).

Aranesp har været godkendt siden juni 2001. Det indeholder det aktive stof darbepoetin alfa.

Yderligere information om de nuværende anvendelser af Aranesp findes på agenturets websted under: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports.

Hvad forventedes Aranesp anvendt til?

Aranesp forventedes desuden anvendt til behandling af anæmi hos patienter med knoglemarvssygdomme af typen myelodysplastisk syndrom. Lægemidlet skulle have været anvendt hos patienter, som ikke behøvede hyppige blodtransfusioner, og som havde lav eller mellemstor risiko for, at deres sygdom udviklede sig til en type kræft, der udgår fra de hvide blodlegemer (akut myeloid leukæmi, AML).

Hvordan virker Aranesp?

Ved behandling af anæmi hos patienter med myelodysplastisk syndrom forventedes Aranesp at fungere på samme måde som ved de eksisterende anvendelser (indikationer). Darbepoetin alfa, det



aktive stof i Aranesp, virker fuldstændig som det naturlige hormon erythropoietin, der produceres af nyrerne for at stimulere dannelsen af røde blodceller, men dets struktur er en anelse anderledes. Det betyder, at darbepoetin alfa virker i længere tid og kan gives mindre hyppigt end naturligt erythropoietin. Da Aranesp virker på samme måde som erythropoietin, stimulerer det kroppen til at danne flere røde blodlegemer, hvorved det modvirker anæmi.

Hvilken dokumentation fremlagde virksomheden til støtte for sin ansøgning?

Ansøgeren fremlagde data fra to hovedstudier hos 356 patienter med anæmi og myelodysplastisk syndrom. I det første studie blev Aranesp sammenlignet med virkningsløs behandling (placebo) i 24 uger. Virkningen blev hovedsageligt målt på reduktionen i antallet af transfusioner af røde blodlegemer. I det andet studie fik alle patienter Aranesp i 13 uger, og her mælt blodets indhold af hæmoglobin, der er hovedbestanddelen i de røde blodlegemer.

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

Ansøgningen blev trukket tilbage, efter at CHMP havde vurderet den dokumentation, som 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 de data, der forelå på tilbagetrækningstidspunktet, havde CHMP visse betænkeligheder og var af den foreløbige opfattelse, at Aranesp ikke kunne være blevet godkendt til behandling af anæmi hos voksne patienter med myelodysplastisk syndrom.

CHMP var af den opfattelse, at ændringerne i det ene studies udformning og udelukkelsen af et stort antal patienter fra analysen af resultaterne rejser spørgsmål om dataenes gyldighed. Desuden var det ene studie, der var udført i USA, ikke i overensstemmelse med EU's anbefalinger for behandling af patienter med myelodysplastisk syndrom.

CHMP var på tidspunktet for tilbagetrækningen derfor af den opfattelse, at resultaterne af studiet ikke ansås for pålidelige, og konkluderede, at lægemidlet ikke kunne være blevet godkendt på baggrund af de oplysninger, som virksomheden havde fremlagt.

Hvilke begrundelser gav virksomheden for tilbagetrækningen af ansøgningen?

I sit brev til agenturet om tilbagekaldelse af ansøgningen anførte virksomheden, at tilbagetrækningen bygger på CHMP's udtalelse om, at de forelagte data ikke giver udvalget mulighed for at godkende anvendelse ved myelodysplastisk syndrom.

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

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

Virksomheden har til CHMP oplyst, at der ikke er igangværende Amgen-sponsorerede kliniske studier med Aranesp.

Hvis du deltager i et klinisk studie og har behov for yderligere information om din behandling, kan du kontakte den læge, der behandler dig.

Hvad sker der med Aranesp til de godkendte indikationer?

Der er ingen konsekvenser for brugen af Aranesp til de godkendte indikationer.