



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

ADen 21. november 2014
EMA/706787/2014
EMA/H/C/000334/II/79

Spørgsmål og svar

Tilbagetrækning af ansøgningen om ændring af markedsføringstilladelse for Ceprotin (humant protein C)

Den 22. oktober 2014 meddelte Baxter AG officielt Udvalget for Lægemidler til Mennesker (CHMP), at virksomheden ønsker at trække sin ansøgning tilbage om en ny anvendelse af Ceprotin til behandling af erhvervet protein C-mangel.

Hvad er Ceprotin?

Ceprotin er lægemiddel, der anvendes til at behandle svær arvelig protein C-mangel og til kortvarig forebyggelse af blodpropper ved svær arvelig protein C-mangel. Detaljerede oplysninger om den godkendte anvendelse af Ceprotin i EU kan findes [her](#).

Ceprotin indeholder det aktive stof humant protein C. Det har været godkendt i EU siden juli 2001.

Hvad forventedes Ceprotin anvendt til?

Ceprotin forventedes også anvendt hos patienter med "erhvervet" protein C-mangel. Med "erhvervet" menes, at sygdommen ikke er arvelig, men opstår i patientens levetid og kan have forskellige årsager såsom svær infektion, leversygdom eller vitamin K-mangel

Hvordan forventes Ceprotin at virke?

Ceprotin indeholder ekstraheret, rensat humant protein C fra menneskeligt plasma (blodets væskeformige del). I kroppen kontrollerer protein C dannelsen af trombin, som er et af de proteiner, der medvirker ved blodets størkning. Protein C nedsætter produktionen af trombin og hæmmer derfor blodets størkning. En injektion af Ceprotin medfører en hurtig, men midlertidig stigning i indholdet af protein C. Dette giver kontrol over problemerne med blodets størkning hos patienter med protein C-mangel.



Hvilken dokumentation fremlagde virksomheden i forbindelse med ansøgningen?

Ansøgeren forelagde data fra to hovedundersøgelser med i alt 52 børn med protein C-mangel som følge af svær infektion, hvor Ceprotin blev sammenlignet med virkningsløs behandling (placebo). Der blev desuden forelagt resultater af en tilbageskuende (retrospektiv) undersøgelse af journalerne for 94 børn med medfødt eller erhvervet protein C-mangel.

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

Ansøgningen blev trukket tilbage, mens CHMP stadig var i gang med at vurdere den dokumentation, som virksomheden oprindeligt havde fremlagt.

Hvad anbefalede CHMP på daværende tidspunkt?

Da CHMP var i færd med at vurdere den dokumentation, som virksomheden havde fremlagt, havde det endnu ikke afgivet en udtalelse.

Hvilken begrundelse gav virksomheden for tilbagetrækningen af ansøgningen?

I sit brev til agenturet om tilbagetrækningen af ansøgningen oplyste virksomheden, at den trak ansøgningen tilbage, fordi CHMP i sin indledende vurdering anmodede om supplerende kliniske oplysninger til dokumentation af, at Ceprotin også er effektivt ved erhvervet protein C-mangel.

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

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

Virksomheden har til CHMP oplyst, at der ikke er nogen konsekvenser for patienter, som deltager i kliniske undersøgelser med Ceprotin eller i programmer for anvendelse af Ceprotin med særlig udleveringstilladelse.

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

Hvad sker der med brugen af Ceprotin til behandling af patienter med svær medfødt protein C-mangel?

Der er ingen konsekvenser ved brug af Ceprotin til den godkendte anvendelse.

Den fuldstændige europæiske offentlige vurderingsrapport for Ceprotin findes på agenturets websted: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports.