



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

21. November 2014
EMA/706787/2014
EMA/H/C/000334/II/79

Fragen und Antworten

Rücknahme des Antrags auf Änderung der Genehmigung für das Inverkehrbringen für Ceprothin (humanes Protein C)

Am 22. Oktober 2014 teilte die Baxter AG dem Ausschuss für Humanarzneimittel (CHMP) offiziell mit, dass das Unternehmen seinen Antrag auf eine neue Indikation für Ceprothin zur Behandlung von erworbenem Protein C-Mangel zurücknimmt.

Was ist Ceprothin?

Ceprothin ist ein Arzneimittel, das zur Behandlung von Patienten mit schwerem kongenitalem (erblich bedingtem) Protein C-Mangel und zur kurzfristigen Prophylaxe der Blutgerinnung bei Patienten mit schwerem kongenitalem Protein C-Mangel angewendet wird. Detaillierte Informationen zur zugelassenen Anwendung von Ceprothin in der Europäischen Union (EU) finden Sie [hier](#).

Ceprothin enthält den Wirkstoff humanes Protein C. Es ist seit Juli 2001 in der EU zugelassen.

Wofür sollte Ceprothin angewendet werden?

Man nahm an, dass Ceprothin auch bei Patienten mit „erworbenem“ Protein C-Mangel angewendet werden könne. „Erworben“ bedeutet, dass die Krankheit nicht erblich bedingt ist, sondern sich erst im Laufe des Lebens des Patienten entwickelt und aus verschiedenen Gründen auftreten kann, wie z. B. aufgrund einer schweren Infektion, einer Lebererkrankung oder eines Vitamin K-Mangels.

Wie soll Ceprothin wirken?

Ceprothin enthält humanes Protein C, das aus dem menschlichen Plasma (dem flüssigen Bestandteil des Blutes) extrahiert und aufgereinigt wurde. Im Körper reguliert Protein C die Bildung von Thrombin, eines der an der Blutgerinnung beteiligten Proteine. Protein C verlangsamt die Bildung von Thrombin



und dadurch auch die Blutgerinnung. Eine Injektion von Ceprotin führt zu einem sofortigen, jedoch nur vorübergehenden Anstieg der Spiegel von Protein C, wodurch sich thrombotische Probleme (Gerinnungsprobleme) bei Patienten mit Protein C-Mangel unter Kontrolle bringen lassen.

Welche Unterlagen hat das Unternehmen zur Stützung seines Antrags vorgelegt?

Der Antragsteller hat Daten aus zwei Hauptstudien mit insgesamt 52 Kindern mit Protein C-Mangel aufgrund schwerer Infektion vorgelegt; in diesen Studien wurde Ceprotin mit Placebo (Scheinbehandlung) verglichen. Außerdem wurden Ergebnisse einer retrospektiven Studie basierend auf Behandlungsunterlagen von 94 Kindern mit kongenitalem oder erworbenem Protein C-Mangel vorgelegt.

In welchem Stadium der Beurteilung befand sich der Antrag zum Zeitpunkt der Rücknahme?

Der Antrag wurde zurückgenommen, während der CHMP die anfänglich von dem Unternehmen eingereichten Unterlagen noch auswertete.

Wie lautete die Empfehlung des CHMP zu diesem Zeitpunkt?

Zu diesem Zeitpunkt wertete der CHMP die von dem Unternehmen anfänglich eingereichten Unterlagen aus und hatte noch keine Empfehlungen ausgesprochen.

Aus welchen Gründen hat das Unternehmen den Antrag zurückgenommen?

In dem Schreiben, in dem das Unternehmen die Agentur von der Rücknahme des Antrags informiert, gab das Unternehmen an, dass es den Antrag zurücknehme, weil der CHMP in seiner vorläufigen Beurteilung zusätzliche klinische Daten anforderte, um die Behauptung zu stützen, dass Ceprotin auch bei Patienten mit erworbenem Protein C-Mangel wirksam sei.

Das Rücknahmeschreiben ist [hier](#) verfügbar.

Welche Konsequenzen hat die Rücknahme für Patienten, die derzeit an klinischen Studien bzw. „Compassionate-Use“-Programmen teilnehmen?

Das Unternehmen setzte den CHMP davon in Kenntnis, dass sich für Patienten, die an klinischen Studien oder an „Compassionate-Use“-Programmen teilnehmen, keine Konsequenzen ergeben.

Sollten Sie an einer klinischen Studie oder einem „Compassionate-Use“-Programm teilnehmen und weitere Informationen zu Ihrer Behandlung benötigen, wenden Sie sich bitte an Ihren behandelnden Arzt.

Was geschieht mit Ceprotin für die Behandlung von Patienten mit schwerem kongenitalem Protein C-Mangel?

Es ergeben sich keine Konsequenzen für die Anwendung von Ceprotin in der zugelassenen Indikation.

Den vollständigen Wortlaut des Europäischen Öffentlichen Beurteilungsberichts für Ceprotin finden Sie auf der Website der Agentur: [ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports).