



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Kysymyksiä ja vastauksia

Lääkevalmisteen Ceprotrin (ihmisen proteiini C) myyntiluvan muutoshakemuksen peruuttaminen

Baxter AG ilmoitti 22. lokakuuta 2014 virallisesti lääkevalmistekomitealle (CHMP) haluavansa peruuttaa hakemuksensa, joka koski Ceprotrin uutta käyttöaihetta, hankitun proteiini C:n puutoksen hoitoa.

Mitä Ceprotrin on?

Ceprotrin on lääkevalmiste, jota käytetään vaikeaa synnynnäistä proteiini C:n puutosta sairastavien potilaiden hoitoon sekä verihyytymien lyhytaikaiseen ennalta ehkäisevään hoitoon näillä potilailla. Lisätietoa Ceprotrin hyväksytyistä käyttöaiheista Euroopan unionissa (EU) on [täällä](#).

Ceprotrin vaikuttava aine on ihmisen proteiini C. Lääkevalmistelle myönnettiin myyntilupa EU:ssa heinäkuussa 2001.

Mihin Ceprotrinia oli tarkoitus käyttää?

Ceprotrinia oli tarkoitus käyttää myös hankitun proteiini C:n puutoksen hoitoon potilailla. Se, että sairaus on hankittu, tarkoittaa, että se ei ole synnynnäinen vaan se on kehittynyt potilaan elämän aikana ja voi johtua monesta eri syystä, kuten vaikeasta infektiosta, maksasairaudesta tai K-vitamiinin puutoksesta.

Miten Ceprotrin odotettiin vaikuttavan?

Ceprotrin sisältää ihmisen plasmasta (veren nestemäisestä osasta) saatua ja puhdistettua proteiini C:tä. Proteiini C säätelee kehossa trombiinin – yhden veren hyytymiseen vaikuttavan proteiinin – tuotantoa. Proteiini C hidastaa trombiinin tuotantoa ja siten hyytymisen etenemistä. Ceprotrin-riske nostaa välittömästi mutta tilapäisesti proteiini C:n pitoisuutta siten, että hyytymisongelmat saadaan hallintaan potilailla, joilla on proteiini C:n puutos.



Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?

Hakija esitti tietoja kahdesta päätutkimuksesta, joihin osallistui yhteensä 52 lasta, joilla oli vakavasta infektiosta aiheutunut proteiini C:n puutos. Tutkimuksissa Ceprotinia verrattiin lumelääkkeeseen. Yhtiö toimitti lisäksi tulokset takautuvasta tutkimuksesta, joka perustui 94:n synnynnäistä tai hankittua proteiini C:n puutosta sairastavan lapsen potilaskertomuksiin.

Miten pitkällä hakemuksen arviointi oli sen peruuttamishetkellä?

Hakemus peruutettiin, kun lääkevalmistekomitea oli vielä arvioimassa yhtiön alkuvaiheessa toimittamia asiakirjoja.

Mikä oli lääkevalmistekomitean suositus tuolloin?

Koska lääkevalmistekomitea oli arvioimassa yhtiön alkuvaiheessa toimittamia asiakirjoja, se ei ollut vielä antanut mitään suosituksia.

Mistä syistä yhtiö peruutti hakemuksen?

Virastolle lähettämässään hakemuksen peruuttamista koskevassa kirjeessä yhtiö ilmoitti päättäneensä peruuttaa hakemuksen, koska lääkevalmistekomitea oli alustavassa arvioinnissaan pyytänyt lisää kliinisiä tietoja tukemaan väitettä Ceprotinin tehoamisesta myös potilailla, joilla on hankittu proteiini C:n puutos.

Yhtiön kirje, jossa se ilmoittaa lääkevirastolle hakemuksen peruuttamisesta, on [tässä](#).

Mitä seurauksia tämän hakemuksen peruuttamisesta on kliinisiin tutkimuksiin tai erityiskäyttöohjelmiin osallistuvilla potilaille?

Yhtiö on ilmoittanut lääkevalmistekomitealle, ettei peruuttamisesta ole mitään seurauksia potilaille, jotka osallistuvat kliinisiin tutkimuksiin tai erityiskäyttöohjelmiin.

Jos olet mukana kliinisessä tutkimuksessa tai erityiskäyttöohjelmassa ja tarvitset lisätietoa hoidostasi, ota yhteyttä sinua hoitavaan lääkäriin.

Mitä seurauksia päätöksestä on Ceprotinin käytölle vaikeaa synnynnäistä proteiini C:n puutosta sairastavien potilaiden hoidossa?

Päätös ei vaikuta Ceprotinin käyttöön hyväksytyssä käyttöaiheessa.

Ceprotinia koskeva Euroopan julkinen arviointilausunto on kokonaisuudessaan viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports.