



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Vragen en antwoorden

Intrekking van de aanvraag tot wijziging van de vergunning voor het in de handel brengen van Ceprotrin (humaan proteïne C)

Op 22 oktober 2014 heeft Baxter AG het Comité voor geneesmiddelen voor menselijk gebruik (CHMP) officieel op de hoogte gebracht van haar beslissing tot intrekking van de aanvraag voor een nieuwe indicatie voor Ceprotrin, de behandeling van verworven proteïne C-deficiëntie.

Wat is Ceprotrin?

Ceprotrin is een geneesmiddel dat gebruikt wordt voor de behandeling van patiënten met ernstige aangeboren (erfelijke) proteïne C-deficiëntie en voor kortetermijnpreventie van bloedstolling bij patiënten met ernstige aangeboren proteïne C-deficiëntie. Gedetailleerde informatie over het goedgekeurde gebruik van Ceprotrin in de Europese Unie (EU) vindt u [hier](#).

Ceprotrin bevat de werkzame stof humaan proteïne C. Het middel is sinds juli 2001 in de EU toegelaten.

Voor welke behandeling was Ceprotrin bedoeld?

Ceprotrin zou ook gebruikt kunnen worden bij patiënten met 'verworven' proteïne C-deficiëntie. 'Verworven' betekent dat de aandoening niet erfelijk is, maar zich tijdens het leven van de patiënt ontwikkelt en om allerlei redenen kan optreden, bijvoorbeeld door ernstige infectie, leverziekte of vitamine K-deficiëntie.

Hoe werd verwacht dat Ceprotrin zou werken?

Ceprotrin bevat humaan proteïne C, dat gewonnen wordt uit menselijk plasma (het vloeibare gedeelte van het bloed) en daarna gezuiverd. In het lichaam reguleert proteïne C de aanmaak van trombine, een van de eiwitten die een rol spelen bij de bloedstolling. Proteïne C remt de trombineproductie en



vertraagt daarmee de bloedstolling. Een injectie met Ceprotin leidt tot een directe maar tijdelijke toename van de proteïne C-concentratie die bloedstollingsproblemen bij patiënten met proteïne C-deficiëntie onder controle brengt.

Welke documentatie heeft de firma ingediend als ondersteuning van de aanvraag?

De aanvrager heeft gegevens ingediend uit 2 hoofdonderzoeken onder in totaal 52 kinderen met proteïne C-deficiëntie door ernstige infectie. Ceprotin werd hierin vergeleken met placebo (een schijn geneesmiddel). Tevens werden de resultaten overgelegd uit een retrospectief onderzoek van de medische dossiers van 94 kinderen met aangeboren of verworven proteïne C-deficiëntie.

In welke beoordelingsfase werd de aanvraag ingetrokken?

De aanvraag werd ingetrokken terwijl het CHMP nog bezig was met de beoordeling van de oorspronkelijke, door de firma verstrekte documentatie.

Wat was de aanbeveling van het CHMP op dat moment?

Omdat het CHMP de oorspronkelijke, door de firma verstrekte documentatie, nog aan het bestuderen was, had het nog geen aanbevelingen gedaan.

Welke redenen gaf de firma voor het intrekken van de aanvraag?

In de brief waarin het Geneesmiddelenbureau op de hoogte wordt gesteld, verklaarde de firma dat de aanvraag werd ingetrokken omdat het CHMP in de voorbereidingsfase had gevraagd om aanvullende klinische gegevens ter onderbouwing van de claim dat Ceprotin ook werkzaam zou zijn bij patiënten met verworven proteïne deficiëntie

De intrekkingbrief is [hier](#) te vinden.

Welke gevolgen heeft de intrekking voor patiënten die deelnemen aan klinisch onderzoek of die het geneesmiddel met speciale toestemming krijgen toegediend?

De firma heeft het CHMP laten weten dat er geen gevolgen zijn voor patiënten die deelnemen aan klinisch onderzoek, noch voor patiënten die het geneesmiddel met speciale toestemming krijgen toegediend.

Indien u deelneemt aan een klinisch onderzoek met Ceprotin of als u het geneesmiddel met speciale toestemming krijgt en meer informatie wenst over uw behandeling, neemt u dan contact op met uw behandelende arts.

Wat gebeurt er met Ceprotin voor de behandeling van patiënten met ernstige aangeboren proteïne C-deficiëntie?

Er zijn geen gevolgen voor het gebruik van Ceprotin bij de goedgekeurde indicatie.

Het volledige Europese openbare beoordelingsrapport voor Ceprotin is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports).