



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Frågor och svar

Återkallande av ansökan om ändring av godkännandet för försäljning av Ceprotin (humant protein C)

Den 22 oktober 2014 underrättade Baxter AG officiellt Europeiska läkemedelsmyndighetens kommitté för humanläkemedel (CHMP) om att de önskar återkalla sin ansökan om en ny indikation för Ceprotin för att behandla förvärvad protein C-brist.

Vad är Ceprotin?

Ceprotin är ett läkemedel som används för att behandla patienter med allvarlig medfödd (ärfvlig) protein C-brist och för att kortvarigt förebygga blodkoagulationen hos patienter med allvarlig medfödd protein C-brist. Ytterligare information om godkänd användning av Ceprotin inom EU finns [här](#).

Ceprotin innehåller den aktiva substansen humant protein C. Det har varit godkänt inom EU sedan juli 2001.

Vad skulle Ceprotin användas för?

Ceprotin skulle även användas till patienter med "förvärvad" protein C-brist. "Förvärvad" innebär att sjukdomen inte är ärfvlig utan utvecklas under patientens liv och kan uppträda av många olika skäl såsom en svår infektion, leversjukdom eller brist på K-vitamin.

Hur var det tänkt att Ceprotin skulle verka?

Ceprotin innehåller humant protein C, vilket har utvunnits och renats från human plasma (den del av blodet som utgörs av vätska). I kroppen reglerar protein C bildandet av trombin, ett av de proteiner som deltar i blodkoagulationen. Protein C sänker produktionen av trombin, och saktar därför ner koagulationen. En injektion med Ceprotin ger en omedelbar men tillfällig ökning av protein C-nivåerna, och reglerar koagulationsproblemen hos patienter med protein C-brist.



Vad har företaget lämnat till stöd för sin ansökan?

Sökanden lade fram uppgifter från två huvudstudier på sammanlagt 52 barn med protein C-brist till följd av svår infektion, där Ceprotin jämfördes med placebo (en överksam behandling). Resultat från en retrospektiv studie som byggde på journalanteckningar för 94 barn med medfödd eller förvärvad protein C-brist tillhandahölls även.

Hur långt hade utvärderingen kommit när ansökan drogs tillbaka?

Ansökan drogs tillbaka medan CHMP fortfarande höll på att utvärdera den ursprungliga dokumentation som företaget lämnat in.

Vad rekommenderade CHMP vid den tidpunkten?

Eftersom CHMP höll på att utvärdera den ursprungliga dokumentation som företaget lämnat in hade kommittén ännu inte lämnat några rekommendationer.

Vilka skäl angav företaget till att dra tillbaka sin ansökan?

I sin skrivelse till myndigheten om återkallandet av ansökan angav företaget att det återkallade ansökan eftersom CHMP i sin preliminära bedömning begärde ytterligare kliniska data till stöd för påståendet att Ceprotin dessutom är effektivt hos patienter med förvärvad protein C-brist.

Skrivelsen om återkallandet finns [här](#).

Vilka följder får återkallandet för patienter som deltar i kliniska prövningar eller s.k. compassionate use-program?

Företaget har informerat CHMP om att beslutet inte får några följder för patienter i kliniska prövningar eller s.k. compassionate use-program.

Om du deltar i en klinisk prövning eller ett s.k. compassionate use-program och vill få mer information om din behandling kan du kontakta den läkare som ger dig läkemedlet.

Vad händer med Ceprotin vid behandling av patienter med allvarlig medfödd protein C-brist?

Återkallandet får inga följder för användningen av Ceprotin vid dess godkända indikation.

Det offentliga europeiska utredningsprotokollet (EPAR) finns i sin helhet på EMA:s webbplats ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports.