



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

15 november 2019  
EMA/613378/2019  
EMA/H/C/002697/II/0029

## Återkallande av ansökan om ändring av godkännande för försäljning av Opsumit (macitentan)

Janssen-Cilag International NV återkallade sin ansökan om användning av Opsumit för behandling av kronisk tromboembolisk pulmonell hypertension (CTEPH), ett tillstånd som orsakar högt blodtryck i lungorna.

Företaget återkallade sin ansökan den 8 november 2019.

### Vad är Opsumit och vad används det för?

Opsumit är ett läkemedel som används för långtidsbehandling av pulmonell arteriell hypertension (PAH), där onormalt högt blodtryck i lungorna leder till symtom såsom andnöd och trötthet. Om PAH inte behandlas kan tillståndet leda till att hjärtmuskeln försvagas eller till hjärtsvikt.

Opsumit har varit godkänt i EU sedan december 2013. Det innehåller den aktiva substansen macitentan och finns som tabletter.

Mer information om Opsumits nuvarande användning finns på myndighetens webbplats:  
[ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/opsumit](http://ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/opsumit)

### Vilken ändring hade företaget ansökt om?

Företaget ansökte om att utvidga användningen av Opsumit för att behandla CTEPH som liknar PAH men har en annan orsak (främst blodkoagel).

Opsumit förväntades användas för patienter med CTEPH som inte kan åtgärdas genom operation och som orsakar orimliga symtom såsom andnöd eller bröstsmärta när patienten utför normal fysisk aktivitet (funktionell klass II och III enligt WHO).

### Hur verkar Opsumit?

Den aktiva substansen i Opsumit, macitentan, verkar genom att blockera receptorer i de blodkärl som är mål för endotelin. Endotelin är en substans som produceras naturligt i kroppen. När endotelin binder till de här receptorererna utlöser det en sammandragning av blodkärlens väggar och ökar blodtrycket.

---

**Official address** Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

**Address for visits and deliveries** Refer to [www.ema.europa.eu/how-to-find-us](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Genom att blockera de här receptorererna i lungorna bidrar macitentan till att stoppa den här effekten genom att vidga blodkärlen i lungorna och därigenom sänka blodtrycket.

Opsumit förväntades verka på samma sätt hos patienter med CTEPH som hos patienter med PAH.

## **Vad har företaget lämnat in som stöd för sin ansökan?**

Företaget presenterade data från en huvudstudie med 80 patienter med CTEPH som inte kunde åtgärdas genom operation där patienterna fick antingen Opsumit eller placebo (overksam behandling). Studien tittade på förbättringar i pulmonellt kärilmotstånd (PVR) efter fyra månader. PVR är ett mått på hur hårt hjärtat måste arbeta för att pumpa blod genom blodkärlen i lungorna.

## **Hur långt hade utvärderingen kommit när ansökan drogs tillbaka?**

Ansökan drogs tillbaka efter att Europeiska läkemedelsmyndigheten hade utvärderat den ursprungliga informationen från företaget och sammanställt frågor till företaget. Vissa frågetecken kvarstod när myndigheten hade utvärderat företagets svar på frågorna.

## **Vad rekommenderade myndigheten vid den tidpunkten?**

Efter genomgång av den inlämnade uppgifterna och företagets svar på myndighetens frågor hyste myndigheten vid tidpunkten för återkallandet vissa betänkligheter och ansåg preliminärt att Opsumit inte skulle ha kunnat godkännas för behandling av CTEPH.

Resultaten från huvudstudien var svåra att tolka och det fanns flera avvikelser från studieprotokollet, vilket kan ha gjort resultaten mindre tillförlitliga. Vid tidpunkten för återkallandet ansåg därför myndigheten att företaget inte hade lämnat in tillräckliga uppgifter som stöd för sin ansökan om att ändra godkännandet för försäljning av Opsumit.

## **Vilka skäl angav företaget till att dra tillbaka sin ansökan?**

I [skrivelsen](#) till myndigheten om att ansökan återkallas uppgav företaget att det hade återkallat sin ansökan efter återkoppling från EMA:s kommitté för humanläkemedel (CHMP) om studien och det sätt som den utförts på.

## **Vilka följder får återkallandet för patienter som deltar i kliniska prövningar?**

Företaget informerade myndigheten om att det inte förväntar sig några följder för pågående kliniska prövningar med Opsumit. Om du deltar i en klinisk prövning och behöver mer information om din behandling kan du kontakta läkaren i den kliniska prövningen.

## **Vad händer med Opsumit vid behandling av andra sjukdomar?**

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