



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

26. heinäkuuta 2012  
EMA/454020/2012  
EMA/H/C/000539/II/0055

## Kysymyksiä ja vastauksia

---

# Lääkevalmisteen Velcade (bortetsomibi) myyntiluvan muutosta koskevan hakemuksen peruuttaminen

Janssen-Cilag International N. V. ilmoitti 2. heinäkuuta 2012 lääkevalmistekomitealle virallisesti peruuttavansa Velcaden myyntiluvan muutosta koskevan hakemuksen, jolla sen käyttöä olisi laajennettu uusiutunutta follikulaarista non-Hodgkin-lymfoomaa sairastaviin potilaisiin.

## Mitä Velcade on?

Velcade on injektiona annettava lääke, jonka vaikuttava aine on bortetsomibi. Sille myönnettiin myyntilupa Euroopan unionissa huhtikuussa 2004. Sillä hoidetaan potilaita, joilla on multippeli myelooma (luuytimen plasmaseluihin liittyvä syöpä). Sitä annetaan melfalaanin ja prednisonin (muiden multippelin myelooman hoidossa käytettävien lääkkeiden) kanssa potilaille, joita ei ole hoidettu aiemmin ja joille suuriannoksinen kemoterapia ja luuydinsiirto eivät sovellu. Sitä käytetään yksinään myös potilailla, joiden sairaus on etenevä ja jotka eivät ole reagoineet vähintään yhteen muuhun lääkkeeseen, sekä potilailla, joille on jo tehty luuydinsiirto tai joille sitä ei voida tehdä.

## Mihin Velcadea oli tarkoitus käyttää?

Velcadea oli tarkoitus käyttää myös follikulaarisen non-Hodgkin-lymfooman (syöpä, joka liittyy eräaseen immuunijärjestelmän osaan eli imukudokseen) hoidossa. Tämä sairaus vaikuttaa eräisiin valkosoluihin eli B-lymfosyyteihin (tai B-soluihin). Velcadea oli määrä antaa yhdessä toisen lääkkeen, rituksimabin, kanssa potilaille, joiden sairaus oli uusiutunut hoidon jälkeen.

## Miten Velcaden odotettiin vaikuttavan?

Velcaden odotettiin vaikuttavan uusiutuneen non-Hodgkin-lymfooman hoidossa samalla tavalla kuin se vaikuttaa nykyisissä käyttöaiheissaankin. Velcaden vaikuttava aine, bortetsomibi, on proteaasin estäjä. Se estää proteasomeja; ne ovat solunsisäisiä kappaleita, jotka pilkkovat proteiineja, kun niitä ei enää



tarvita. Kun syöpäsoluissa olevat – esimerkiksi solujen kasvua ohjaavat – proteiinit eivät pilkkoudu, se vaikuttaa syöpäsoluihin, ja lopulta ne kuolevat.

## **Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?**

Hakija esitti tulokset tutkimuksesta, johon osallistui 676 follikulaarista non-Hodgkin-lymfoomaa sairastavaa potilasta, joiden sairaus oli uusiutunut tai edennyt aiemmista hoidoista huolimatta. Tutkimuksessa arvioitiin Velcaden käyttämisestä rituksimabin kanssa aiheutuvia vaikutuksia ja verrattiin niitä pelkästään rituksimabilla saatuihin vaikutuksiin näillä potilailla. Pääasiallinen tehon mitta oli sen ajan pituus, jonka potilaat elivät ilman sairauden pahenemista.

## **Miten pitkällä hakemuksen arviointi oli sen peruuttamishetkellä?**

Hakemus peruutettiin sen jälkeen, kun lääkevalmistekomitea oli arvioinut yhtiön toimittamat asiakirjat ja laatinut kysymysluettelon. Kun lääkevalmistekomitea oli arvioinut yhtiön ensimmäisiin kysymyksiin antamat vastaukset, joitakin seikkoja oli vielä selvittämättä.

## **Mikä oli lääkevalmistekomitean suositus tuolloin?**

Arvioimiensa tietojen ja yhtiön kysymysluettelon antamien vastausten tarkastelun perusteella lääkevalmistekomitea suhtautui varauksellisesti joihinkin seikkoihin peruuttamisajankohtana, ja sen alustava kanta oli, ettei Velcadea voida hyväksyä follikulaarisen non-Hodgkin-lymfooman hoitoon.

Lääkevalmistekomitea piti tutkimustulosten merkitystä kyseenalaisena, sillä ne osoittivat, että kaiken kaikkiaan Velcadella ja rituksimabilla hoidetut potilaat elivät keskimäärin 1,8 kuukautta pitempään ilman sairauden pahenemista kuin pelkästään rituksimabilla hoidetut potilaat (12,8 kuukautta vs. 11 kuukautta). Komitea ei pitänyt tätä eroa merkittävänä eikä ollut vakuuttunut siitä, että tutkimuksessa olisi määritetty potilaista sellainen alaryhmä, jolle Velcaden lisäämisestä rituksimabihoitoon olisi enemmän hyötyä. Lisäksi lääkevalmistekomitealla oli tulosten analysoinnissa käytettyä metodologiaa koskevia huolenaiheita, sillä sen perusteella havaitun vaikutuksen laajuus jäi hieman epäselväksi. Komitea piti huolestuttavana myös sitä, että Velcaden ja rituksimabin yhdistelmä aiheutti enemmän haittavaikutuksia kuin rituksimabi yksinään.

Siksi lääkevalmistekomitea katsoi hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, että Velcadesta saatava hyöty ei ole sen riskkejä suurempi hoidettaessa uusiutunutta follikulaarista non-Hodgkin-lymfoomaa.

## **Mistä syistä yhtiö peruutti hakemuksen?**

Virallisessa kirjeessään yhtiö ilmoitti päättäneensä peruuttaa myyntilupahakemuksen, koska lääkevalmistekomitea katsoi, etteivät toimitetut tiedot puoltaneet myönteistä hyöty-riskisuhdetta.

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 CHMP:lle, ettei peruuttamisesta ole mitään seurauksia potilaille, jotka osallistuvat Velcadea koskeviin kliinisiin tutkimuksiin. Jos olet mukana kliinisessä tutkimuksessa ja tarvitset lisätietoja hoidostasi, ota yhteyttä hoitavaan lääkäriin.

## **Mitä seurauksia päätöksestä on Velcaden käytölle multippelin myelooman hoidossa?**

Päätös ei vaikuta Velcaden käyttöön hyväksytyissä käyttöaiheissa.

Velcadea koskeva Euroopan julkinen arviointilausunto on kokonaisuudessaan viraston verkkosivustolla osoitteessa [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports).