



Tätä valmistetta koskeva hakemus on jätetty myöhemmin uudelleen EMEAan. Katso [täältä](#) tiedot uudelleen jätetyn hakemuksen käsittelyn tuloksesta.

KYSYMYKSIÄ JA VASTAUKSIA MYYNTILUVAN MUUTOSTA KOSKEVAN HAKEMUKSEN PERUUTTAMISESTA

Lääkevalmiste: ZAVESCA

Kansainvälinen yleisnimi (INN): *miglustaatti*

Actelion Registration Ltd. ilmoitti 19.2.2008 virallisesti lääkevalmistekomitealle (CHMP), että se peruuttaa Zavesca-lääkevalmisteen uutta käyttöaihetta koskevan hakemuksensa. Uusi käyttöaihe olisi ollut tyyppin C Niemann-Pickin tautia sairastavien potilaiden neurologisten oireiden hoito.

Mitä Zavesca on?

Zavesca on kova valkoinen kapseli, joka sisältää vaikuttavana aineena miglustaattia. Sitä käytetään lievän ja keskivaikean tyyppin I Gaucherin taudin hoitoon. Gaucherin tauti on harvinainen perinnöllinen tauti, joka vaikuttaa elimistön tapaan käsitellä rasvoja. Tätä tautia sairastavilla potilailla glukosyyliceramidi-nimistä rasva-ainetta kertyy kehon eri osiin, kuten pernaan, maksaan ja luihin.

Mihin Zavescaa oli tarkoitus käyttää?

Uudessa käyttöaiheessa Zavescaa oli tarkoitus käyttää tyyppin C Niemann-Pickin taudin neurologisten (aivoihin ja hermostoon vaikuttavien) oireiden hoitoon. Tyyppin C Niemann-Pickin tauti on harvinainen perinnöllinen tauti, joka vaikuttaa elimistön tapaan käsitellä rasvoja. Tätä tautia sairastavilla potilailla rasva-aineita, kuten glykosfingolipidejä, kertyy aivosoluihin ja muualle kehoon. Oireita ovat koko ajan paheneva koordinaation heikkeneminen, sakkadisten (nopeiden) silmänliikkeiden ongelmat, jotka voivat aiheuttaa näkökyvyn heikkenemistä, kehityksen viivästyminen, nielemisvaikeudet, lihasjänteyden lisääntyminen, kohtaukset ja oppimisvaikeudet. Tauti voi johtaa dementiaan ja potilas menehtyy yleensä ennen aikuisikää. Zavesca nimettiin harvinaislääkkeeksi tyyppin C Niemann-Pickin taudin hoitoon 16.2.2006.

Miten Zavescan odotetaan vaikuttavan?

Zavescan vaikuttava aine miglustaatti estää glukosyyliceramidisyntaasi-nimisen entsyymin toiminnan. Tämä entsyymi on mukana glykosfingolipidien tuotannon ensimmäisessä vaiheessa. Estämällä entsyymin toiminnan miglustaatti voi vähentää glykosfingolipidien tuotantoa soluissa. Tämän odotetaan lievittävän taudin oireita.

Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevalmistekomitealle hakemuksensa tueksi?

Zavescan vaikutuksia testattiin ensin kokeellisilla malleilla ennen ihmisillä tutkimista. Zavescan tehoa tutkittiin yhdessä päätutkimuksessa, johon osallistui yhteensä 29 tyyppin C Niemann-Pickin tautia sairastavaa 12 vuotta täyttäneitä potilasta. Tutkimuksessa tarkasteltiin vakiohoidon ja siihen 200 mg:n annoksina kolme kertaa vuorokaudessa lisätyn Zavesca-vmisteen vaikutusta verrattuna pelkän vakiohoidon vaikutukseen. Lääkevalmistetta tutkittiin myös 12:lla alle 12-vuotiaalla potilaalla. Tehon pääasiallisena mittana oli muutos potilaiden sakkadisten horisontaalisten silmänliikkeiden nopeudessa yhden vuoden hoidon jälkeen.

Yhtiö esitti myös lisätietoja maailmanlaajuisesta tutkimuksesta tyypin C Niemann-Pickin tautia sairastavilla potilailla, joita oli hoidettu miglustaatilla päätutkimuksen ulkopuolella. Tiedot saatiin 23 potilaasta.

Miten pitkällä hakemuksen arviointi oli peruuttamishetkellä?

Arviointi oli päättynyt ja lääkevalmistekomitea oli antanut kielteisen lausunnon. Yhtiö oli pyytänyt kielteisen lausunnon uudelleen käsittelyä, joka oli meneillään, kun yhtiö peruutti hakemuksensa.

Mikä oli lääkevalmistekomitean suositus tuolloin?

Saamiensa tietojen ja yhtiön kysymysluetteloon antamien vastausten perusteella lääkevalmistekomitea antoi hakemusta koskevan kielteisen lausunnon eikä suositellut myyntiluvan myöntämistä Zavescaa varten tyypin C Niemann-Pickin tautia sairastavien potilaiden neurologisten oireiden hoitoon.

Mitkä olivat lääkevalmistekomitean tärkeimmät huolenaiheet?

Lääkevalmistekomitea myönsi, ettei tyypin C Niemann-Pickin tautiin ole vaihtoehtoisia hoitoja. Se oli kuitenkin huolissaan siitä, ettei Zavescan hyötyä tyypin C Niemann-Pickin taudin neurologisten oireiden hoidossa ollut osoitettu riittävästi. Lääkevalmisteen hyöty osoittautui päätutkimuksessa erittäin rajalliseksi: ero silmänliikkeiden nopeuden muutoksessa oli vain marginaalinen Zavescaa saaneiden ja vakiohoitoa saaneiden potilaiden välillä, ja oli epävarmaa, oliko silmänliikkeiden tarkasteleminen paras tapa mitata lääkevalmisteen tehoa. Zavesca yhdistettiin myös sivuvaikutuksiin vatsassa ja suolistossa sekä laihtumiseen ja trombosytopeniaan (verihiutaleniukkuuteen). Tämän vuoksi lääkevalmistekomitea katsoi tuolloin, etteivät Zavescan hyödyt tyypin C Niemann-Pickin taudin neurologisten oireiden hoidossa olleet havaittuja riskejä merkittävämmät.

Mistä syistä yhtiö peruutti hakemuksen?

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

Mitä seurauksia hakemuksen epäämisestä on Zavescan klinisiin tutkimuksiin tai erityiskäyttöohjelmiin osallistuvilla potilaille?

Yhtiö on ilmoittanut lääkevalmistekomitealle, ettei peruuttamisesta ole mitään seurauksia potilaille, jotka osallistuvat Zavescan klinisiin tutkimuksiin tai erityiskäyttöohjelmiin. Jos olet mukana kliinisessä tutkimuksessa tai erityiskäyttöohjelmassa ja tarvitset lisätietoja hoidostasi, ota yhteyttä sinua hoitavaan lääkäriin.

Mitä seurauksia päätöksestä on Zavescan käytölle tyypin 1 Gaucherin taudin hoidossa?

Zavescan käyttöön ei tule muutoksia hyväksytyssä käyttöaiheessa, jossa riski-hyötysuhde pysyy ennallaan.