



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

22. huhtikuuta 2022
EMA/304893/2022
EMA/H/C/005584

Neffy-lääkevalmistetta (adrenaliini) koskevan myyntilupahakemuksen peruuttaminen

ARS Pharmaceuticals IRL, Limited peruutti allergisten reaktioiden, kuten anafylaksian, ensihoitoon tarkoitettua Neffy-lääkevalmistetta koskevan myyntilupahakemuksensa.

Lääkeyhtiö peruutti hakemuksen 4. huhtikuuta 2022.

Mitä Neffy on ja mihin sitä oli tarkoitus käyttää?

Neffy kehitettiin lääkkeeksi, jota oli määrä käyttää intranasalisesti (nenän kautta) allergisten reaktioiden ensihoidossa, mukaan lukien anafylaktiset reaktiot (äkillinen vakava allerginen reaktio, johon liittyy hengitysvaikeuksia, turvotusta, huimausta, nopeaa sykettä, hikoilua ja tajunnan menetyks).

Neffyn vaikuttava aine on adrenaliini, ja sitä oli määrä olla saatavana nenäsumutteena.

Miten Neffy vaikuttaa?

Intranasalisesti annettavan Neffyn vaikuttava aine, adrenaliini, imeytyy nenän limakalvoihin ja kulkeutuu kaikkialle kehoon. Tämän jälkeen adrenaliini sitoutuu kehon eri reseptoreihin lieventäen anafylaktista reaktiota. Sitoutumalla näihin reseptoreihin adrenaliini vähentää verisuonten laajenemista, jolloin veren virtaus paranee ja rentouttaa keuhkojen sileitä lihaksia, jolloin hengittäminen helpottuu. Adrenaliini sitoutuu myös immuunijärjestelmän soluissa oleviin reseptoreihin ja estää histamiinin (allergian oireita aiheuttava aine elimistössä) vapautumisen.

Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?

Eettisistä ja käytännön syistä katsottiin, ettei Neffyn tehoa vakavista allergisista reaktioista kärsivien ihmisten hoidossa voida tutkia. Adrenaliinin käytöstä vakavan allergian hoidossa on kuitenkin saatavilla runsaasti tietoa, ja se on tällä hetkellä anafylaksian tavanomainen hoito. Siksi yhtiö toimitti tulokset neljästä kliinisestä tutkimuksesta, joissa Neffyä verrattiin valmisteisiin, joissa vaikuttava aine injektoidaan. Tutkimuksissa tarkasteltiin farmakokinetiikkaa (miten lääke imeytyy ja muuntuu elimistössä sekä poistuu elimistöstä) sekä verenpainetta ja sykettä osoituksena lääkkeen tehosta lähes 700 terveellä 18–55-vuotiaalla henkilöllä.

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

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

An agency of the European Union



Miten pitkällä hakemuksen arviointi oli, kun se peruutettiin?

Hakemus peruutettiin sen jälkeen, kun Euroopan lääkevirasto oli arvioinut yhtiön toimittamat tiedot ja laatinut yhtiölle ensimmäisen kysymysluettelon. Yhtiö ei ollut vielä vastannut näihin kysymyksiin, kun hakemus peruutettiin.

Mikä oli viraston suositus tuolloin?

Virasto suhtautui saamiensa tietojen tarkastelun perusteella varauksella eräisiin seikkoihin hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, ja sen alustava kanta oli, että ilman lisätutkimuksia Neffyä ei olisi voitu hyväksyä allergisten reaktioiden, kuten anafylaksian, ensihoitoon.

Virasto katsoi, ettei lääkkeen imeytyminen nenän limakalvoilta potilailta, joilla on akuutti anafylaksia, olisi verrattavissa lääkkeen imeytymiseen vapaaehtoisilla terveillä tutkittavilla ja että ehdotetulla annoksella voitaisiin saavuttaa odotetut kliiniset tulokset. Virasto suhtautui niin ikään varauksella siihen, että lääkkeeseen sisällytettiin antimikrobisia säilöntäaineita ja antioksidantteja, ja katsoi, että lääke olisi formuloitava uudelleen niin, että nämä aineet poistetaan.

Siksi virasto ei pystynyt hakemuksen peruuttamisen ajankohtana tekemään päätelmiä Neffyn tehosta allergisten reaktioiden hoidossa, ja sen kanta oli, ettei Neffyn hyöty tässä käyttöaiheessa ole sen riskejä suurempi.

Mistä syistä yhtiö peruutti hakemuksen?

[Kirjeessään](#), jossa yhtiö ilmoittaa virastolle hakemuksen peruuttamisesta, se toteaa peruuttaneensa hakemuksensa viraston pyydettä lisätietoja. Yritys on ilmoittanut aikovansa toimittaa uuden hakemuksen, jossa viraston esittämät seikat on otettu huomioon.

Vaikuttaako tämä epääminen kliinisiin tutkimuksiin osallistuviin potilaisiin?

Yhtiö ilmoitti virastolle, että peruuttamisesta ei ole seurauksia potilaille, jotka osallistuvat Neffyä koskeviin kliinisiin tutkimuksiin.

Jos olet mukana kliinisessä tutkimuksessa ja tarvitset lisätietoa hoidostasi, ota yhteyttä kliinisen tutkimuksen lääkäriin.