



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

17. syyskuuta 2021  
EMA/508191/2021  
EMA/H/C/005730

## Lääkevalmistetta Oportuzumab monatox DLRC Pharma Services (oportutsumabi-monatoksi) koskevan myyntilupahakemuksen peruuttaminen

DLRC Pharma Services peruutti virtsarakon syövän hoitoon ja uusiutumisen ehkäisemiseen sekä papillaaristen kasvainten uusiutumisen ehkäisemiseen tarkoitettua lääkevalmistetta Oportuzumab monatox DLRC Pharma Services koskevan myyntilupahakemuksensa.

Yhtiö peruutti hakemuksen 20. elokuuta 2021.

### **Mitä Oportuzumab monatox DLRC Pharma Services on ja mihin sitä oli tarkoitus käyttää?**

Oportuzumab monatox DLRC Pharma Services -valmiste kehitettiin lääkkeeksi kahdentyypin virtsarakon syövän hoitoon. Lääkevalmistetta oli tarkoitus käyttää virtsarakon in situ -karsinooman (CIS) hoitoon ja uusiutumisen ehkäisemiseen sekä korkean erilaistumisasteen papillaaristen Ta- ja/tai T1-kasvainten uusiutumisen ehkäisemiseen. Valmistetta oli tarkoitus käyttää potilailla, joille on tehty höyläysleikkaus syövän poistamiseksi ja joiden syöpään immunologinen BCG-hoito (eräs syöpähoidon tyyppi) ei ollut tehonnut.

Oportuzumab monatox DLRC Pharma Services -lääkevalmisteen vaikuttava aine on oportutsumabi-monatoksi, ja se oli tarkoitettu injektoitavaksi suoraan virtsarakkoon.

### **Miten Oportuzumab monatox DLRC Pharma Services vaikuttaa?**

Oportuzumab monatox DLRC Pharma Services -lääkevalmiste muodostuu vasta-ainefragmentista (eräs proteiinityyppi), joka on kiinnittynyt sytotoksiseen (soluja tappavaan) aineeseen. Vasta-aine on suunniteltu kiinnittymään syöpäsolujen pinnalla olevaan kohteeseen (EpCAM), jolloin lääke pääsee syöpäsoluun. Kun lääke on sisällä solussa, sytotoksisen aineen odotetaan tappavan solun. Lääkkeen odotettiin myös käynnistävän immuunivasteen syöpäsoluja vastaan.

---

**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



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

Yhtiö esitti tulokset tutkimuksesta, johon osallistui 133 potilasta, joilla oli virtsarakon in situ -karsinooma (CIS) tai papillaarisia kasvaimia (korkean erilaistumisasteen Ta-luokka tai mikä tahansa T1-luokan aste) ja joiden syöpään immunologinen BCG-hoito ei ollut tehonnut. Tehon pääasiallisena mittana oli se, että merkkejä syöpäsoluista ei ollut havaittavissa (täydellinen vaste) kolmen kuukauden jälkeen, sekä vasteen kesto. Oportuzumab monatox DLRC Pharma Services -valmistetta ei verrattu muihin lääkkeisiin tai lumelääkkeeseen.

## **Miten pitkällä hakemuksen arviointi oli, kun se peruutettiin?**

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

## **Mikä oli viraston suositus tuolloin?**

Virasto suhtautui saamiensa tietojen tarkastelun perusteella erittäin varauksellisesti joihinkin seikkoihin hakemuksen peruuttamisen ajankohtana. Viraston alustava kanta oli, että Oportuzumab monatox DLRC Pharma Services -lääkevalmistetta ei olisi voitu hyväksyä virtsarakon in situ -karsinooman hoitoon ja sen uusiutumisen ehkäisemiseen tai papillaaristen kasvainten uusiutumisen ehkäisemiseen.

Virasto oli huolestunut lääkkeen laadusta, turvallisuudesta ja tehosta. Laadun kannalta ongelmallista oli, että lääkkeen valmistuksessa käytettiin useita prosesseja. Tämä herätti kysymyksen siitä, miten lääkkeen aktiivisuutta kyettiin mittaamaan kaikissa näissä prosesseissa. Lisätietoja tarvittiin myös hyvän valmistustavan noudattamisesta ja mahdollisten epäpuhtauksien esiintymisestä. Tehon osalta virasto katsoi, että päätutkimukseen osallistunut potilasryhmä ei vastannut tavoiteltua käyttöaihetta. Lisäksi tutkimusasetelmaan tehtiin merkittäviä muutoksia tutkimuksen ollessa käynnissä, mikä aiheuttaa tulosten tulkintaongelmia. Tehon pääasiallisten mittojen valintaa ei myöskään pidetty asianmukaisena. Ilmoitettujen tehosta saatujen tulosten kliinistä merkitystä niin ikään epäiltiin. Eräät turvallisuutta koskevat tiedot taas vaikuttivat ristiriitaisilta, ja niistä edellytettiin tarkempaa selvitystä.

Siksi virasto suhtautui erittäin varauksellisesti tietojen luotettavuuteen hakemuksen peruuttamisen ajankohtana ja katsoi, ettei lääkevalmistetta olisi voitu hyväksyä yhtiön esittämien tietojen perusteella.

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

[Kirjeessään](#), jossa yhtiö ilmoittaa virastolle hakemuksen peruuttamisesta, yhtiö toteaa peruuttavansa hakemuksensa Yhdysvaltain elintarvike- ja lääkeviraston antaman, Yhdysvalloissa jätettyä oportuzumabi-monatoksi-hakemusta koskeneen palautteen perusteella.

## **Mitä seurauksia tämän hakemuksen peruuttamisesta on kliinisiin tutkimuksiin osallistuvilla potilaille?**

Yhtiö ilmoitti virastolle, ettei peruutus vaikuta potilaisiin, jotka osallistuvat Oportuzumab monatox DLRC Pharma Services -valmistetta koskeviin kliinisiin tutkimuksiin.

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