



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

13 november 2020
EMA/594092/2020
EMA/H/C/005123

Återkallande av ansökan om godkännande för försäljning av Puldysa (idebenon)

Santhera Pharmaceuticals (Deutschland) GmbH återkallade sin ansökan om godkännande för försäljning av Puldysa för behandling av Duchennes muskeldystrofi.

Företaget återkallade sin ansökan den 28 oktober 2020.

Vad är Puldysa och vad skulle det användas för?

Puldysa utvecklades som ett läkemedel för att behandla försämrad andningsförmåga hos patienter med Duchennes muskeldystrofi som inte behandlas med kortikosteroider.

Läkemedlet innehåller den aktiva substansen idebenon och skulle finnas som filmdragerade tabletter att tas via munnen.

Det togs fram som ett "hybridläkemedel". Det betyder att det var avsett att likna ett s.k. referensläkemedel som innehåller samma aktiva substans och som redan godkänts i EU. Referensläkemedlet är Mnesis, ett läkemedel som godkänts i Italien för behandling av glaukom.

Puldysa klassificerades den 20 mars 2007 som ett sär läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) avsett att användas vid Duchennes muskeldystrofi. Mer information om klassificeringen som sär läkemedel finns [här](#).

Hur verkar Puldysa?

Den aktiva substansen i Puldysa, idebenon, är en antioxidant som verkar på mitokondrierna (de strukturer i cellerna som producerar den energi cellerna behöver för att fungera). Hos patienter med Duchennes muskeldystrofi fungerar inte mitokondrierna som de ska, utan producerar giftiga former av syre som skadar muskelcellerna. Idebenon tros förbättra produktionen av energi genom att återställa mitokondriernas funktion, vilket förhindrar att cellerna skadas och att muskelfunktionen försämras, inbegripet andningsmusklernas funktion.

Idebenon är också godkänt inom EU för behandling av kognitionsnedsättningar, beteendestörningar, Friedreichs ataxi och Lebers hereditära optikusneuropati.

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



Vad har företaget lämnat in som stöd för sin ansökan?

Företaget tillhandahöll resultaten från tre huvudstudier som omfattade patienter med Duchennes muskeldystrofi som inte behandlades med kortikosteroider. I två av studierna jämfördes Puldysa med placebo (overksam behandling) och effekten mättes genom förbättring av lungfunktionen eller förändring av en indikator för andningsfunktion som mäter den maximala hastighet med vilken en person kan andas ut luft (PEF, "Peak Expiratory Flow") efter ett års behandling. I den tredje studien gjordes en längre uppföljning av patienter som behandlades med Puldysa, för att se om effekterna på andningen upprätthölls över tid.

Hur långt hade utvärderingen kommit när ansökan drogs tillbaka?

Ansökan drogs tillbaka efter att Europeiska läkemedelsmyndigheten hade utvärderat dokumentationen från företaget och sammanställt en frågelista. Vissa frågetecken kvarstod när myndigheten hade utvärderat företagets svar på den sista omgången frågor.

Vad rekommenderade myndigheten vid den tidpunkten?

Efter genomgång av de inlämnade uppgifterna och företagets svar på myndighetens frågor hyste myndigheten vid tidpunkten för återkallandet vissa betänkligheter och ansåg preliminärt att Puldysa inte skulle ha kunnat godkännas för behandling av försämrad andningsförmåga hos patienter med Duchennes muskeldystrofi som inte behandlas med kortikosteroider.

Myndigheten fann att de gynnsamma effekterna på lungfunktionen inte överensstämde mellan studierna och att det var oklart om de kunde upprätthållas på längre sikt.

Vid tidpunkten för återkallandet ansåg därför myndigheten att nyttan med Puldysa inte övervägde riskerna.

Vilka skäl angav företaget till att dra tillbaka sin ansökan?

I [skrivelsen](#) till myndigheten om att ansökan återkallas uppgav företaget att det återkallade sin ansökan efter att en huvudstudie – som förväntades ge ytterligare belegg för Puldysas nytta hos patienter med Duchennes muskeldystrofi – nyligen hade stoppats på grund av att målen med den inte kunde uppnås.

Påverkar detta återkallande patienter som deltar i kliniska prövningar eller s.k. compassionate use-program?

Företaget informerade myndigheten om att alla kliniska prövningar och compassionate use-program för Puldysa som behandling vid Duchennes muskeldystrofi kommer att avbrytas. Läkarna från de kliniska prövningarna kommer att kontakta patienterna i fråga för att boka in slutliga uppföljningsbesök.

Om du deltar i en klinisk prövning eller ett compassionate use-program och behöver mer information kan du kontakta läkaren i den kliniska prövningen.