



**FRÅGOR OCH SVAR OM ÅTERKALLANDE AV ANSÖKAN OM GODKÄNNANDE FÖR  
FÖRSÄLJNING  
för  
ORBEC**

Internationellt generiskt namn (INN): *beklometasondipropionat*

Den 22 maj 2008 anmälde DOR BIOPHARMA UK officiellt till Kommittén för humanläkemedel (CHMP) att man önskar dra tillbaka sin ansökan om godkännande för försäljning av orBec för behandling av gastrointestinal transplantat-kontra-värdsjukdom (även kallat graft-versus-host-sjukdom). orBec klassificerades som säräkemedel den 13 mars 2002.

**Vad är orBec?**

orBec är ett läkemedel som innehåller den aktiva substansen beklometasondipropionat. Det var tänkt att saluföras i form av två separata tabletter, som skulle tas tillsammans: en tablett med omedelbar frisättning (omedelbar frisättning betyder att tablettens innehåll är tillverkat på ett sådant sätt att den avger den aktiva substansen omedelbart) och en enterotablett (enterotablett betyder att tablettens innehåll passerar magsäcken och inte bryts ner förrän i tarmen).

**Vad skulle orBec användas för?**

orBec var tänkt att användas för behandling av gastrointestinal transplantat-kontra-värdsjukdom. Transplantat-kontra-värdsjukdom kan uppträda hos patienter efter vävnads- eller organtransplantation, när cellerna i den vävnad eller det organ som transplanterats uppfattar patienten som "främmande" och angriper patientens kropp. Patienter med gastrointestinal transplantat-kontra-värdsjukdom har skador på magsäck och tarm, som leder till svår inflammation i dessa organ.

**Hur är det tänkt att orBec ska verka?**

Den aktiva substansen i orBec, beklometasondipropionat, är en kortikosteroid som har använts i inhalerade och nasala läkemedel och hudläkemedel sedan 1970-talet. Den dämpar aktiviteten hos immunsystemet (kroppens naturliga försvar) genom att fästa sig vid mottagare i olika typer av immunceller. Med orBec skulle beklometasondipropionat tas genom munnen så att det kunde verka inuti magsäcken och tarmen. Det förväntades blockera receptorer i magsäcken och tarmen och lokalt minska bildningen av ämnen som är involverade i igenkännandet av främmande celler och i inflammationsprocessen. Detta förväntades leda till en minskning av skadorna på magsäcken och tarmen.

**Vilken dokumentation har företaget lämnat till CHMP som stöd för sin ansökan?**

I ansökan presenterades data för experimentmodeller för beklometasondipropionat från den vetenskapliga litteraturen. Effekten av orBec studerades i en huvudsaklig studie där orBec jämfördes med placebo (overksam behandling) på 129 patienter med gastrointestinal transplantat-kontra-värdsjukdom. Det huvudsakliga måttet på läkemedlets effekt var hur lång tid det tog innan behandlingen slutade ge effekt under den 50 dagar långa behandlingen.

**Hur långt hade utvärderingen kommit när ansökan drogs tillbaka?**

Ansökan var på dag 180 när företaget drog tillbaka den.

Vissa frågetecken kvarstod när CHMP hade bedömt företagets svar på en lista med frågor. Det tar normalt upp till 210 dagar för CHMP att utvärdera en ny ansökan. CHMP går igenom den första dokumentationen och gör en lista med frågor (dag 120) som skickas till företaget. När företaget har svarat på frågorna går CHMP igenom svaren och kan ställa fler frågor (dag 180) innan de avger sitt yttrande. Efter CHMP:s yttrande tar det oftast omkring två månader för Europeiska kommissionen att utfärda ett godkännande för försäljning.

#### **Vad rekommenderade CHMP vid den tidpunkten?**

Efter genomgången av de inlämnade uppgifterna och företagets svar på CHMP:s frågelista hyste CHMP vid tidpunkten för återkallandet vissa betänkligheter och ansåg preliminärt att orBec inte hade kunnat godkännas för behandling av gastrointestinal transplantat-kontra-värdsjukdom.

#### **Vilka var CHMP:s främsta betänkligheter?**

CHMP hyste betänkligheter för att den enda huvudsakliga studien inte visade effekten hos orBec. orBec var inte signifikant bättre än placebo när det gällde att förlänga den tid det tog tills sjukdomen återkom under den 50 dagar långa behandlingsperioden. CHMP hyste också betänkligheter för att de flesta av patienterna som deltog i studien kom från ett och samma studiecenter, och att resultaten därför inte var representativa för befolkningen i stort. Dessutom noterade kommittén att det saknades data som visade hur den aktiva substansen i orBec fungerar i magsäck och tarm, när den används för behandling av gastrointestinal transplantat-kontra-värdsjukdom.

Vid tidpunkten för återkallandet ansåg därför CHMP att fördelarna med orBec inte hade bevisats tillräckligt och inte var större än de identifierade riskerna.

#### **Vilka skäl angav företaget till att dra tillbaka sin ansökan?**

Företagets skrivelse till EMEA om sin önskan att dra tillbaka sin ansökan finns [här](#).

#### **Vilka följder får återkallandet för patienter som deltar i kliniska prövningar/humanitära program (s.k. compassionate use-program) med orBec?**

Företaget har informerat CHMP om att beslutet inte får några följder för patienter som för närvarande deltar i kliniska prövningar eller humanitära program med orBec.

Om du deltar i en klinisk prövning eller ett humanitärt program och behöver mer information om din behandling ska du kontakta den läkare som ger dig läkemedlet.