



Kysymyksiä ja vastauksia myyntilupahakemuksen peruuttamisesta
Lääkevalmiste:
Theraloc

Kansainvälinen yleisnimi (INN): **nimotutsumabi**

Oncoscience AG -yhtiö ilmoitti virallisesti 1. joulukuuta 2008 Euroopan lääkeviraston lääkevalmistekomitealle (CHMP), että se haluaa perua Theralocia koskevan myyntilupahakemuksensa lasten ja nuorten resistentin tai uusiutuvan korkea-asteisen gliooman hoitoon. Theraloc nimettiin harvinaislääkkeeksi 2. syyskuuta 2004.

Mitä Theraloc on?

Theraloc on konsentraatti, joka sekoitetaan liuokseksi infuusiota (suoneen tiputusta) varten. Sen vaikuttava aine on nimotutsumabi.

Mihin Theralocia aiottiin käyttää?

Theraloc oli tarkoitettu käytettäväksi vähintään kolme vuotta täyttäneiden lasten ja nuorten korkea-asteisen gliooman hoitoon. Gliooma on aivokasvain, joka saa alkunsa gliasoluista (hermosoluja ympäröivät ja tukevat solut). Theralocia oli tarkoitus käyttää tapauksissa, joissa gliooma on resistentti (muut hoidot eivät tuota vastetta) tai uusiutuva (uusiutunut aiemman hoidon jälkeen).

Miten Theralocin odotettiin vaikuttavan?

Theralocin vaikuttava aine nimotutsumabi on monoklonaalinen vasta-aine. Monoklonaalinen vasta-aine on vasta-aine (eräs proteiini), joka on suunniteltu tunnistamaan ja sitomaan tietyissä kehon soluissa olevaan erityiseen rakenteeseen (antigeeniin). Nimotutsumabi sitoo antigeenin nimeltä epidermaalinen kasvutekijäreseptori (EGFR), joka on proteiini tiettyjen kasvainsolujen pinnalla. Aktivoituneena EGFR edistää kasvainsolujen kasvua, lisääntymistä ja leviämistä. Nimotutsumabin oli tarkoitus hidastaa gliooman etenemistä estämällä EGFR:n toimintaa.

Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevalmistekomitealle hakemuksensa tueksi?

Theralocin vaikutuksia testattiin ensin kokeellisissa malleissa ennen ihmisillä tutkimista. Theralocia on tutkittu yhdessä päätutkimuksessa, johon osallistui 47 glioomaa sairastavaa lasta ja nuorta, joiden sairauteen ei ollut saatavissa parantavaa hoitoa. Theralocia ei verrattu mihinkään muuhun hoitoon. Tehon pääasiallisena mittana oli niiden potilaiden määrä, jotka vastasivat hoitoon. Potilaan katsottiin vastanneen hoitoon, jos kasvaimet katosivat, kutistuivat tai pysyivät samankokoisina.

Kuinka pitkällä hakemuksen arviointi oli sen peruuttamishetkellä?

Hakemusta oli käsitelty 173 päivää, kun yhtiö peruutti sen. Lääkevalmistekomitean arvioitua yhtiöltä kysymysluettelon saamansa vastaukset jäljelle jäi vielä joitakin ratkaisemattomia kysymyksiä. Lääkevalmistekomitea arvioi uuden hakemuksen yleensä 210 päivässä. Se laatii yhtiölle lähetettävän kysymysluettelon (120 päivän kuluessa) alkuvaiheessa toimitettujen asiakirjojen tarkastuksen perusteella. Kun yhtiö on toimittanut vastaukset näihin kysymyksiin, lääkevalmistekomitea tarkastaa ne ja voi esittää niistä yhtiölle vielä täydentäviä kysymyksiä (180 päivän kuluessa) ennen lausunnon antamista. Kun lääkevalmistekomitea on antanut lausuntonsa, Euroopan komissio antaa myyntiluvan yleensä noin kahden kuukauden kuluttua.

Mikä oli lääkevalmistekomitean suositus tuolloin?

Saamiensa tietojen ja yhtiön kysymysluetteloon antamien vastausten tarkastelun perusteella lääkevalmistekomitea suhtautui varauksellisesti joihinkin seikkoihin hakemuksen peruuttamisen ajankohtana; sen alustava kanta oli, ettei Theralocia voi hyväksyä lasten ja nuorten uusiutuvan korkeaasteisen gliooman hoitoon.

Mitkä olivat CHMP:n suurimmat huolenaiheet?

Lääkevalmistekomitean huolenaiheena oli, että yhtiö ei ollut toimittanut riittäviä todisteita siitä, että Theralocia voidaan valmistaa luotettavasti, ja että tiedot valmisteen vaikutuksesta kehossa olivat riittämättömät.

Komitean huolena oli, että Theralocin hyötyä ei ollut osoitettu, koska päätutkimuksesta ei osoittanut hyötyä eloonjäämisen kannalta ja koska kenenkään Theralocilla hoidetun potilaan kasvainta ei saatu katoamaan täysin. Lisäksi oli epäselvää, oliko tutkimukseen osallistuneiden potilaiden sairaus resistentti vai uusiutuva.

Lääkevalmistekomitean huolenaiheena oli myös lääkevalmisteen turvallisuus. Tietoja siitä, tuottaako keho lääkevalmistetta vastaan vasta-aineita, ei toimitettu, ja vakavien sivuvaikutusten esiintyvyys oli korkea.

Näin ollen lääkevalmistekomitean katsoi hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, että Theralocista ei ole osoitettu riittävästi osoitettu olevan riittävästi hyötyä eikä hyöty ollut tunnistettuja riskejä suurempi.

Mitkä olivat yhtiön ilmoittamat syyt hakemuksen peruuttamiselle?

Kirje, jossa yhtiö ilmoittaa EMEA:lle hakemuksen peruuttamisesta on luettavissa [tästä](#).

Mitä seurauksia hakemuksen peruuttamisesta on Theralocia koskeviin kliinisiin tutkimuksiin tai erityiskäyttöohjelmiin osallistuvilla potilaille?

Yhtiö on ilmoittanut lääkevalmistekomitealle, ettei peruuttamisesta ole mitään seurauksia potilaille, jotka osallistuvat Theralocia koskeviin kliinisiin tutkimuksiin tai erityiskäyttöohjelmiin.

Jos olet mukana kliinisessä tutkimuksessa tai erityiskäyttöohjelmassa ja tarvitset lisätietoja hoidostasi, ota yhteyttä sinua hoitavaan lääkäriin.