



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

1. helmikuuta 2019
EMA/912780/2019
EMA/H/C/004789

Efgratin-lääkevalmistetta (pegfilgrastiimi) koskevan myyntilupahakemuksen peruuttaminen

Gedeon Richter Plc ilmoitti 20. joulukuuta 2018 lääkevalmistekomitealle (CHMP) virallisesti haluavansa peruuttaa neutropenian hoitoon tarkoitettua Efgratin-lääkevalmistetta koskevan myyntilupahakemuksensa.

Mitä Efgratin on?

Efgratin on lääke, jonka vaikuttava aine on pegfilgrastiimi, joka stimuloi neutrofiilien (infektioita torjuvien valkosolujen) tuotantoa. Sitä oli tarkoitus antaa injektiona ihon alle.

Efgratin kehitettiin biologisesti samankaltaiseksi lääkevalmistekseksi. Tämä tarkoittaa sitä, että Efgratinin oli tarkoitus olla hyvin samanlainen kuin toinen biologinen lääke ("alkuperäisvalmiste"), jolla on jo myyntilupa EU:ssa. Efgratinin alkuperäisvalmiste on Neulasta. Lisätietoa biologisesti samankaltaisista lääkevalmisteista on [tässä](#).

Mihin Efgratin-valmistetta oli tarkoitus käyttää?

Efgratin-valmistetta oli tarkoitus käyttää neutropenian (alhaisen neutrofiilien määrän) hoitoon syöpäpotilailla. Neutropenia on syövän hoidossa käytettävien tiettyjen sytotoksisten lääkkeiden (solumyrkkyjen) aiheuttama haittavaikutus, sillä hoidon aikana kuolee myös valkosoluja. Efgratinia oli tarkoitus käyttää neutropenian keston lyhentämiseen ja kuumeisen neutropenian vähentämiseen.

Miten Efgratin vaikuttaa?

Efgratinin vaikuttava aine pegfilgrastiimi koostuu filgrastiimista, joka on "pegyloitu" (kiinnitetty polyetyleeniglykoli-nimiseen kemikaaliin). Filgrastiimi on hyvin samankaltainen kuin ihmisproteiini nimeltä granulosityttiryhmiä stimuloiva kasvutekijä (G-CSF). Se stimuloi luuydintä tuottamaan enemmän neutrofiileja ja parantaa potilaan kykyä torjua infektioita.

Koska filgrastiimi on pegyloitu, sen poistuminen elimistöstä on hitaampaa ja lääkettä tarvitsee antaa harvemmin.



Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?

Yhtiö esitti tuloksia kahdesta terveillä ihmisillä tehdystä tutkimuksesta, joiden tarkoituksena oli osoittaa, että Efgratin on kemialliselta rakenteeltaan, puhtaudeltaan, toiminnaltaan ja sen kannalta, miten keho käsittelee lääkettä, hyvin samankaltainen kuin alkuperäisvalmiste Neulasta. Syöpälääkkeitä saavilla potilailla tehdyssä lisätutkimuksessa vertailtiin Efgratinin ja Neulastan turvallisuutta ja tehoa. Efgratinin turvallisuutta verrattiin Neulastan turvallisuuteen eri tutkimuksissa, joissa oli mukana sekä terveitä ihmisiä että syöpäpotilaita.

Miten pitkällä hakemuksen arviointi oli, kun se peruutettiin?

Hakemus peruutettiin sen jälkeen, kun lääkevalmistekomitea oli arvioinut yhtiön alkuvaiheessa toimittaman alustavan aineiston ja laatinut luettelon kysymyksistä. Yhtiö ei ollut vielä vastannut kysymyksiin, kun hakemus peruutettiin.

Mikä oli lääkevalmistekomitean suositus tuolloin?

Lääkevalmistekomitea suhtautui saamiensa tietojen perusteella varauksellisesti joihinkin seikkoihin hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, ja sen alustava kanta oli, että Efgratinia ei olisi voitu hyväksyä neutropeenian hoitoon. Lääkevalmistekomitea oli huolissaan tulosten validiteetista tutkimuksista, jotka koskivat sitä, miten elimistö käsittelee Efgratinia Neulastaan verrattuna. Lisäksi tietoja ei ollut saatavilla mahdollisten vasta-aineiden muodostumisesta elimistössä Efgratinin vaikuttavaa ainetta vastaan.

Siksi lääkevalmistekomitea katsoi hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, ettei yhtiö ollut osoittanut Efgratinin olevan hyvin samankaltainen kuin Neulasta.

Mistä syistä yhtiö peruutti hakemuksen?

Kirjeessään, jossa yhtiö ilmoittaa virastolle hakemuksen peruuttamisesta, se toteaa, että se ei pysty vastaamaan lääkevalmistekomitean huolenaiheisiin annetussa ajassa.

Peruuttamista koskeva kirje on [täällä](#).

Mitä seurauksia tämän hakemuksen peruuttamisesta on kliinisiin tutkimuksiin osallistuvilla potilaille?

Yhtiö ilmoitti lääkevalmistekomitealle, ettei Efgratinia koskevia kliinisiä tutkimuksia tai erityiskäyttöohjelmia ole käynnissä.