



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

16. joulukuuta 2016
EMA/822770/2016
EMA/H/C/004023

Kysymyksiä ja vastauksia

Efgratin-lääkevalmistetta (pegfilgrastiimi) koskevan myyntilupahakemuksen peruuttaminen

Gedeon Richter Plc ilmoitti 16. marraskuuta 2016 lääkevalmistekomitealle (CHMP) 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 olla saatavana ihon alle pistettävänä injektioesteenä.

Efgratin kehitettiin biologisesti samankaltaiseksi lääkevalmisteeiksi. Tämä tarkoittaa sitä, että Efgratinin oli tarkoitus olla hyvin samanlainen kuin toinen biologinen lääke (alkuperäisvalmiste Neulasta), jolla jo on myyntilupa Euroopan unionin alueella. Lisätietoa biologisesti samankaltaisista lääkevalmisteista on kysymyksiä ja vastauksia sisältävässä [asiakirjassa](#).

Mihin Efgratin-valmistetta oli tarkoitus käyttää?

Efgratin-valmistetta oli tarkoitus käyttää neutropenian (alhaisen neutrofiilimäärän) hoitoon syöpäpotilailla. Neutropenia on syövän hoidossa käytettävien tiettyjen sytotoksisten lääkkeiden (solomyrkkujen) aiheuttama sivuvaikutus, 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 granulosyyttiryhmiä stimuloiva kasvutekijä (G-CSF). Se stimuloi luuydintä tuottamaan enemmän valkosoluja ja parantaa potilaan vastustuskykyä.

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 terveillä ihmisillä tehdyistä tutkimuksista, joiden tarkoituksena oli osoittaa, että Efgratin on kemialliselta rakenteeltaan, puhtaudeltaan, toiminnaltaan ja sen kannalta, miten keho käsittelee lääkettä, hyvin samankaltainen kuin alkuperäisvalmiste Neulasta. Toisessa syöpälääkkeitä käyttävillä potilailla tehdyssä tutkimuksessa vertailtiin Efgratinin ja Neulastan turvallisuutta ja tehoa.

Miten pitkällä hakemuksen arviointi oli, kun se peruutettiin?

Hakemus peruutettiin sen jälkeen, kun lääkevalmistekomitea oli arvioinut yhtiön toimittamat asiakirjat ja laatinut luettelon kysymyksistä. Kun lääkevalmistekomitea oli arvioinut yhtiön viimeisiin kysymyksiin antamat vastaukset, joitakin seikkoja oli vielä selvittämättä.

Mikä oli lääkevalmistekomitean suositus tuolloin?

Lääkevalmistekomitea suhtautui saamiensa tietojen ja yhtiön kysymysluetteloön antamien vastausten tarkastelun perusteella varauksellisesti joihinkin seikkoihin hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, ja sen alustava kanta oli, että Efgratinia ei olisi voitu hyväksyä neutropenian hoitoon.

Lääkevalmistekomitea oli huolissaan siitä, että tutkimuksen tulokset eivät osoittaneet, että elimistö käsittelee Efgratinia samalla tavalla kuin alkuperäisvalmiste Neulastaa.

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 tarkasteltuaan lääkevalmistekomitean päätöstä se on päättänyt peruuttaa hakemuksensa, mutta että se aikoo jatkaa valmisteen kehittämistä ja noudattaa lääkevalmistekomitean neuvoa poistaa epävarmuustekijät.

Peruuttamista koskeva kirje on [tässä](#).

Mitä seurauksia tämän hakemuksen peruuttamisesta on klinisiin tutkimuksiin osallistuvilla potilaille?

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