



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

16 december 2016
EMA/822770/2016
EMA/H/C/004023

Frågor och svar

Återkallande av ansökan om godkännande för försäljning av Efgratin (pegfilgrastim)

Den 16 november 2016 underrättade Gedeon Richter Plc officiellt Europeiska läkemedelsmyndighetens kommitté för humanläkemedel (CHMP) om att de önskar återkalla sin ansökan om godkännande för försäljning för Efgratin, som var avsett för minskning av neutropeni.

Vad är Efgratin?

Efgratin är ett läkemedel som innehåller den aktiva substansen pegfilgrastim, som stimulerar produktionen av neutrofiler (en typ av vita blodkroppar som bekämpar infektioner). Det skulle finnas som en lösning för injektion under huden.

Efgratin togs fram som en biosimilar (liknande biologiskt läkemedel). Det betyder att Efgratin var avsett att vara mycket likt ett biologiskt läkemedel, ett s.k. referensläkemedel, som redan godkänts i EU och som kallas Neulasta. Mer information om biosimilarer finns i dokumentet med frågor och svar [här](#).

Vad skulle Efgratin användas för?

Efgratin skulle ges till cancerpatienter för att minska neutropeni (lågt antal neutrofiler). Neutropeni är en biverkning till vissa cytotoxiska (celldödande) cancerbehandlingar eftersom behandlingarna även dödar vita blodkroppar. Efgratin skulle användas för att minska neutropenis varaktighet och förekomsten av febril neutropeni (neutropeni med feber).

Hur verkar Efgratin?

Den aktiva substansen i Efgratin, pegfilgrastim, består av filgrastim som har "pegylerats" (bundits till en kemikalie som kallas polyetylenglykol). Filgrastim är mycket likt ett mänskligt protein som kallas



G-CSF (granulocyte-colony-stimulating factor, granulocyt-kolonistimulerande faktor). Det stimulerar benmärgen till att producera fler neutrofiler och ökar patientens förmåga att bekämpa infektioner.

Eftersom filgrastim är pegylerat försvinner det långsammare ur kroppen, vilket gör att läkemedlet kan ges mindre ofta.

Vad har företaget lämnat in som stöd för sin ansökan?

Företaget presenterade resultaten av studier på friska personer som var utformade att visa att Efgratin är mycket likt referensläkemedlet Neulasta vad gäller kemisk struktur, renhet, verkningsätt och hur kroppen hanterar läkemedlet. I en annan studie på patienter som fick läkemedel mot cancer jämfördes Efgratins och Neulastas säkerhet och effekt.

Hur långt hade utvärderingen kommit när ansökan drogs tillbaka?

Ansökan drogs tillbaka efter att CHMP hade utvärderat den dokumentation som företaget lämnat in och sammanställt en frågelista. Vissa frågetecken kvarstod när CHMP hade utvärderat företagets svar på den sista omgången frågor.

Vad rekommenderade CHMP vid den tidpunkten?

Efter genomgång av de inlämnade uppgifterna och företagets svar på CHMP:s frågelista hyste CHMP vid tidpunkten för återkallandet vissa betänkligheter och ansåg preliminärt att Efgratin inte skulle ha kunnat godkännas för minskning av neutropeni. CHMP hyste betänkligheter över att studieresultaten inte hade visat att kroppen hanterade Efgratin på samma sätt som referensläkemedlet Neulasta.

Vid tidpunkten för återkallandet ansåg därför CHMP att företaget inte hade visat att Efgratin är mycket likt Neulasta.

Vilka skäl angav företaget till att dra tillbaka sin ansökan?

I skrivelsen till myndigheten om att ansökan återkallas uppgav företaget att de har beslutat att återkalla ansökan efter att ha övervägt CHMP:s slutsatser, men att de ska fortsätta utveckla produkten och följa CHMP:s råd att undanröja den kvarstående ovissheten.

Företagets skrivelse om återkallande av ansökan finns [här](#).

Vilka följder får återkallandet för patienter som deltar i kliniska prövningar?

Företaget informerade CHMP om att det inte pågår några kliniska prövningar eller s.k. compassionate use-program med Efgratin.