



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

16. december 2016
EMA/817193/2016
EMA/H/C/004055

Spørgsmål og svar

Tilbagetrækning af ansøgningen om markedsføringstilladelse for Graspas (eryaspase)

Den 14. november 2016 meddelte Erytech Pharma SA officielt Udvalget for Lægemidler til Mennesker (CHMP), at virksomheden ønsker at tilbagetrække sin ansøgning om markedsføringstilladelse for Graspas til behandling af akut lymfoblastær leukæmi.

Hvad er Graspas?

Graspas er et kræftlægemiddel, der indeholder det aktive stof eryaspase (en version af enzymet asparaginase, der befinder sig inde i røde blodlegemer, som er kompatible med patientens blodgruppe). Asparaginase er et enzym, der har været anvendt til behandling af kræft i mange år, og det fås allerede under forskellige handelsnavne i EU.

Hvad forventedes Graspas anvendt til?

Graspas skulle anvendes i tillæg til andre kræftlægemidler til behandling af voksne og børn fra 1 år og opefter, som har akut lymfoblastær leukæmi (ALL), der er en form for kræft i de hvide blodlegemer. Lægemidlet forventedes anvendt hos patienter, hvis kræft er klassificeret som "Philadelphia chromosome negative" og ikke reagerer på den indledende behandling eller vender tilbage efter behandling.

Graspas blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 26. oktober 2006 mod akut lymfoblastær leukæmi. Yderligere oplysninger om udpegelsen til lægemiddel til sjældne sygdomme findes [her](#).

Hvordan virker Graspas?

Det aktive stof i Graspas, asparaginase, virker ved at nedbryde aminosyren asparagin og dermed nedsætte koncentrationen i blodet. Kræftcellerne behøver denne aminosyre for at vokse og formere sig. Når dens koncentration i blodet nedsættes, dør kræftcellerne. Normale celler kan derimod



producere deres egen asparagin og påvirkes mindre af lægemidlet. Asparaginase i Graspas ligger inde i røde blodlegemer, der skal hjælpe med at beskytte enzymet mod at blive nedbrudt i kroppen. Da asparaginase er et protein, kan det forårsage allergiske reaktioner, men ved at kapsle det ind i røde blodlegemer forventes risikoen for allergi at være reduceret.

Hvilken dokumentation fremlagde virksomheden i forbindelse med ansøgningen til CHMP?

Virksomheden fremlagde data om Graspas, herunder resultaterne af en hovedundersøgelse af 80 patienter med akut lymfoblastær leukæmi, hvis sygdom var vendt tilbage efter den indledende behandling, eller som ikke havde reageret på den indledende behandling. Nogle af dem havde allergi mod andre produkter indeholdende asparaginase.

Hvor langt var vurderingen af ansøgningen nået, da den blev trukket tilbage?

Ansøgningen blev trukket tilbage, efter CHMP havde vurderet den dokumentation, som virksomheden havde fremlagt, og udarbejdet lister med spørgsmål. Virksomheden havde ikke svaret på den sidste spørgsmålsrunde, da ansøgningen blev trukket tilbage.

Hvad anbefalede CHMP på daværende tidspunkt?

På baggrund af gennemgangen af dataene på tidspunktet for tilbagetrækningen af ansøgningen havde CHMP haft visse betænkeligheder og var af den foreløbige opfattelse, at Graspas ikke kunne være blevet godkendt til behandling af akut lymfoblastær leukæmi. CHMP var betænkelig ved den metode, som virksomheden havde anvendt til at måle virkningen af lægemidlet i hovedundersøgelsen. Udvalget var ligeledes betænkelig ved, om resultaterne af undersøgelsen kunne udvides til patienter, der tog andre kombinationer af kræftlægemidler. Desuden havde virksomheden ændret den måde, som asparaginase fremstilles på, og udvalget bad om understøttende dokumentation for, at dette ikke ville have indflydelse på virkningen af lægemidlet.

Derfor var CHMP på tidspunktet for tilbagetrækningen af den opfattelse, at virksomheden ikke havde fremlagt tilstrækkelige oplysninger til at underbygge ansøgningen om Graspas.

Hvilke begrundelser gav virksomheden for tilbagetrækningen af ansøgningen?

I sit brev til agenturet om tilbagetrækningen af ansøgningen anførte virksomheden, at den trak ansøgningen tilbage, fordi den ikke kunne fremskaffe de yderligere data, som CHMP anså for nødvendige til at underbygge ansøgningen, inden for den angivne tidsfrist.

Brevet om tilbagetrækningen kan ses [her](#).

Hvilke konsekvenser har tilbagetrækningen for patienter, der deltager i kliniske undersøgelser med Graspas?

Virksomheden har til CHMP oplyst, at beslutningen ikke vil få konsekvenser for patienter, som i øjeblikket deltager i kliniske undersøgelser med Graspas.

Hvis du deltager i en klinisk undersøgelse med Graspas og har behov for yderligere oplysninger om din behandling, kan du kontakte den læge, der behandler dig.