



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

Den 14. december 2012  
EMA/20325/2013  
EMA/H/C/2259

## Spørgsmål og svar

---

# Tilbagetrækning af ansøgningen om markedsføringstilladelse for Jenzyl (ridaforolimus)

Den 27. november 2012 meddelte Merck Sharp & Dohme Limited officielt til Udvalget for Lægemidler til Mennesker (CHMP), at virksomheden ønskede at trække sin ansøgning om markedsføringstilladelse for Jenzyl tilbage til behandling af patienter med metastatisk bløddelssarkom eller knoglesarkom, der tidligere er behandlet med kemoterapi.

## Hvad er Jenzyl?

Jenzyl er et lægemiddel, der indeholder det aktive stof ridaforolimus. Det var hensigten, at det skulle leveres som 10 mg tabletter.

## Hvad forventedes Jenzyl anvendt til?

Jenzyl forventedes anvendt til behandling af voksne med bløddelssarkom (en kræfttype, der angriber kroppens bløde støttevæv) eller knoglesarkom (knoglekræft), som er metastatisk (dvs. har bredt sig til andre dele af kroppen).

Jenzyl forventedes anvendt til vedligeholdelsesbehandling af patienter, der i forvejen har fået to eller tre forskellige typer kemoterapi.

Den 26. august 2005 blev Jenzyl udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme", og den 28. oktober 2005 blev det godkendt til behandling af bløddelssarkom og primære ondartede knoglesvulster.

## Hvordan forventes Jenzyl at virke?

Det aktive stof i Jenzyl, ridaforolimus, blokerer enzymet mTOR ("mammalian target of rapamycin"), der regulerer vækst og deling af kroppens celler. Aktiviteten af dette enzym er øget hos patienter med sarkom. I kroppen bindes ridaforolimus først til proteinet FKBP-12 og danner derved et kompleks med dette. Dette kompleks hæmmer derefter mTOR. Da mTOR medvirker ved styringen af cellernes deling



og blodkarrenes vækst, forhindrer ridaforolimus kræftcellerne i at dele sig og nedsætter deres blodforsyning. Dette forventes at bremse kræftcellernes vækst og formering.

## **Hvilken dokumentation fremlagde virksomheden i forbindelse med ansøgningen?**

Virksomheden fremlagde resultaterne af en hovedundersøgelse med 711 patienter med metastatisk bløddelssarkom eller knoglesarkom, der havde fået op til fire kure med én, to eller tre alternative kemoterapibehandlinger. I undersøgelsen blev Jenzyl sammenlignet med placebo (virkningsløs behandling). Behandlingens virkning blev hovedsagelig bedømt på den tid, der gik, indtil sygdommen forværredes.

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

Ansøgningen blev trukket tilbage, efter at CHMP havde vurderet den dokumentation, virksomheden havde indsendt, og stillet en række spørgsmål. Virksomheden havde endnu ikke besvaret den sidste række spørgsmål, da ansøgningen blev trukket tilbage.

## **Hvad anbefalede CHMP på daværende tidspunkt?**

Efter gennemgang af de foreliggende oplysninger og virksomhedens besvarelse af CHMP's spørgsmål havde udvalget visse betænkeligheder. Udvalgets foreløbige standpunkt var, at Jenzyl ikke kunne godkendes til vedligeholdelsesbehandling af patienter med metastatisk bløddelssarkom eller knoglesarkom.

CHMP var betænkelig ved, at indtagelse af Jenzyl i forhold til placebo kun medførte en lille forlængelse af den tid, patienterne levede, indtil sygdommen blev værre (18 mod 15 uger hos patienter, der havde fået én eller flere forudgående behandlinger med kemoterapi, og 16 uger mod 10 uger hos patienter, der havde fået to eller tre forudgående behandlinger med kemoterapi). CHMP fandt denne fordel beskeden, når det tages i betragtning, at patienterne sædvanligvis overlevede længe efter, at sygdommen var skredet frem. CHMP fandt desuden, at den iagttagne noget større virkning hos patienter, som havde fået to eller tre forskellige forudgående behandlinger med kemoterapi, sammenlignet med dem, der havde fået én eller flere behandlinger, ikke nødvendigvis afspejler størrelsen af lægemidlets virkning, da det er uklart, hvorfor lægemidlet skulle virke bedre i senere stadier af sygdommen. Hvad sikkerheden angår, var CHMP betænkelig ved den store hyppighed af bivirkninger, der påvirkede patienternes velvære, foruden visse ualmindelige bivirkninger, der kunne være livstruende.

På tidspunktet for tilbagetrækningen var CHMP derfor af den opfattelse, at fordelene ved Jenzyl ikke var tilfredsstillende påvist og ikke større end risiciene.

## **Hvilken begrundelse gav virksomheden for tilbagetrækningen af ansøgningen?**

I sit officielle brev erklærede virksomheden, at den havde besluttet at trække ansøgningen tilbage, fordi CHMP på det forelagte grundlag ikke kunne konkludere, at benefit/risk-forholdet er positivt.

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

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

Virksomheden har til CHMP oplyst, at beslutningen ikke vil få konsekvenser for patienter, der på nuværende tidspunkt deltager i kliniske undersøgelser med Jenzyl.

Hvis du deltager i en klinisk undersøgelse og har behov for mere information om din behandling, bedes du kontakte den læge, der giver dig behandlingen.

Sammendraget af udtalelsen fra Udvalget for Lægemidler til Sjældne Sygdomme om Jenzyl findes på EMA's websted under: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation) ([bløddelssarkom](#) og [primære ondartede knoglesvulster](#)).