



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

14 december 2012
EMA/20322/2013
EMA/H/C/2259

Frågor och svar

Återkallande av ansökan om godkännande för försäljning av Jenzyl (ridaforolimus)

Den 27 november 2012 underrättade Merck Sharp & Dohme Limited officiellt kommittén för humanläkemedel (CHMP) om att de önskar återkalla sin ansökan om godkännande för försäljning för Jenzyl, som var avsett för underhållsbehandling av patienter med metastatiska mjukdelssarkom eller bensarkom som tidigare behandlats med kemoterapi.

Vad är Jenzyl?

Jenzyl är ett läkemedel som innehåller den aktiva substansen ridaforolimus. Det skulle finnas som 10 mg tabletter.

Vad skulle Jenzyl användas för?

Jenzyl skulle användas för behandling av vuxna med mjukdelssarkom (en typ av cancer som drabbar de mjuka stödvävnaderna i kroppen) eller bensarkom (bencancer) som är metastatiska (har spridit sig till andra delar av kroppen).

Det skulle användas som underhållsbehandling av patienter som redan har fått två eller tre kemoterapikurer.

Jenzyl klassificerades den 26 augusti 2005 och 28 oktober 2005 som ett säräkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) avsett att användas vid mjukdelssarkom och primära maligna bentumörer.

Hur var det tänkt att Jenzyl skulle verka?

Den aktiva substansen i Jenzyl, ridaforolimus, blockerar verkan av ett enzym som kallas mTOR (mammalian target of rapamycin), som reglerar tillväxten och delningen av celler i kroppen och vars aktivitet är förhöjd hos patienter med sarkom. I kroppen fäster ridaforolimus först till ett protein som kallas FKBP-12 och som finns inuti cellerna i ett komplex. Detta komplex blockerar sedan mTOR.



Eftersom mTOR är inblandat i celldelningskontrollen och blodkärlstillväxten förhindrar ridaforolimus tumörcellernas delning och minskar deras blodtillförsel. Detta förväntas sakta ner cancercellernas tillväxt och proliferation.

Vad har företaget lämnat till stöd för sin ansökan?

Företaget lämnade in resultaten av en huvudstudie på 711 patienter som hade metastatiska mjukdelssarkom eller bensarkom och som tidigare har fått upp till fyra cykler av en, två eller tre alternativa kemoterapikurer. Studien jämförde Jenzyl med placebo (en överksam behandling). Huvudmättet på effekt var den tid patienterna levde tills sjukdomen förvärrades.

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. Vid tidpunkten för återkallandet hade företaget ännu inte besvarat 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 vissa betänkligheter vid tidpunkten för återkallandet och ansåg preliminärt att Jenzyl inte skulle ha kunnat godkännas för behandling av patienter som hade metastatiska mjukdelssarkom eller bensarkom som underhållsbehandling.

CHMP hyste betänkligheter över att intag av Jenzyl bara gav en liten ökning av den tid patienterna levde tills deras sjukdom förvärrades jämfört med placebo (18 mot 15 veckor hos patienter som hade fått en eller fler tidigare kemoterapikur, och 16 mot 10 veckor hos patienter som hade fått två eller tre tidigare kemoterapikurer). CHMP ansåg att denna nytta var måttlig med tanke på att patienterna vanligtvis överlevde länge efter att deras sjukdom hade framskridit. CHMP ansåg dessutom att den något större effekten hos patienter som hade fått två eller tre tidigare kemoterapikurer jämfört med dem som hade fått en eller fler kurer inte behövde återspegla den verkliga storleken på läkemedlets effekt, eftersom skälet till att läkemedlet skulle verka bättre under senare stadier av sjukdomen var oklart. Vad gäller säkerheten hyste CHMP betänkligheter över den höga frekvensen av biverkningar som stör patientens välbefinnande liksom vissa mindre vanliga men potentiellt livshotande biverkningar.

Vid tidpunkten för återkallandet ansåg CHMP därför att nyttan med Jenzyl inte övervägde riskerna.

Vilka skäl angav företaget till att dra tillbaka sin ansökan?

I sin skrivelse till myndigheten om återkallandet av ansökan angav företaget att det beslutade att återkalla ansökan eftersom CHMP fann att de inlämnade uppgifterna inte gjorde det möjligt för kommittén att avge ett positivt yttrande om nytta-riskförhållandet.

Skrivelsen om återkallandet finns på [här](#).

Vilka följder får återkallandet för patienter i kliniska prövningar?

Företaget informerade CHMP om att återkallandet inte har några följder för patienter som för närvarande deltar i kliniska prövningar med Jenzyl.

Om du deltar i en klinisk prövning och vill få mer information om din behandling kan du kontakta den läkare som ger dig läkemedlet.

Sammanfattningen av ställningstagandet om Jenzyl från Kommittén för sällsynta läkemedel finns på EMA:s webbplats: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation) ([mjukdelssarkom](#) och [primärt malignt bensarkom](#)).