



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

24. kesäkuuta 2016
EMA/430531/2016
EMA/H/C/003846

Kysymyksiä ja vastauksia

Lääkevalmisteen Kyndrisa (drisaperseeni) myyntilupahakemuksen peruuttaminen

BioMarin International Limited ilmoitti 31. toukokuuta 2016 virallisesti lääkevalmistekomitealle (CHMP) päätöksestään peruuttaa Kyndrisa-lääkevalmistetta koskeva myyntilupahakemuksensa, jonka käyttöaihe oli Duchennen lihasdystrofian hoito.

Mitä Kyndrisa on?

Kyndrisa on lääke, jonka vaikuttava aine on drisaperseeni. Sitä oli tarkoitus olla saatavana ihon alle pistettävänä injektioneesteenä.

Mihin Kyndrisaa oli tarkoitus käyttää?

Kyndrisaa oli tarkoitus käyttää Duchennen lihasdystrofian hoitoon vähintään 5 vuoden ikäisillä potilailla, jotka pystyvät kävelemään ja joiden sairaus johtuu tietyistä geenimutaatioista (vioista), joita voidaan hoitaa eksoni 51:n ohituksen tekniikalla. Duchennen lihasdystrofia on vakava geneettinen sairaus, jota ilmenee pääasiassa pojilla. Se diagnosoidaan yleensä lapsen kuudenteen ikävuoteen mennessä. Se aiheuttaa etenevää lihasheikkoutta ja lihasten toiminnan katoamista, ja yleensä se johtaa kuolemaan nuoruudessa tai varhaisaikuisuudessa.

Kyndrisa nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisissa sairauksissa käytettävä lääke) 27. helmikuuta 2009 Duchennen lihasdystrofian hoitoa varten. Lisätietoja harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on [tässä](#).

Miten Kyndrisan odotettiin vaikuttavan?

Duchennen lihasdystrofia aiheutuu mutaatioista dystrofiini-nimisen proteiinin geenissä, jolloin elimistö tuottaa toimintakyvytöntä dystrofiinia. Tämän lääkkeen vaikutus perustuu "eksoni 51:n ohituksen" tekniikkaan. Tämän tekniikan avulla soluissa olevat proteiinia valmistavat osat voivat ohittaa tiettyjä



dystrofiinigeenin alueita, mikä mahdollistaa lyhennetyn mutta osittain toimivan dystrofiiniproteiinin tuotannon.

Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?

Kyndrisaa tutkittiin kolmessa tutkimuksessa, joihin osallistui yhteensä 290 Duchennen lihasdystrofiaa sairastavaa potilasta. Näissä tutkimuksissa Kyndrisan vaikutuksia verrattiin lumelääkkeeseen, ja tehon päämittana oli muutos siinä matkassa, jonka potilas pystyi kävelemään kuudessa minuutissa 24 tai 48 hoitoviikon jälkeen.

Miten pitkällä hakemuksen arviointi oli sen peruuttamishetkellä?

Hakemus peruutettiin sen jälkeen, kun lääkevalmistekomitea oli arvioinut yhtiön toimittamat asiakirjat ja laatinut kysymysluettelon. Kun lääkevalmistekomitea oli arvioinut yhtiön viimeisimpiin kysymyksiin antamat vastaukset, joitakin tärkeitä seikkoja oli vielä selvittämättä.

Mikä oli lääkevalmistekomitean suositus tuolloin?

Saamiensa tietojen ja yrityksen kysymysluettelon antamien vastausten tarkastelun perusteella lääkevalmistekomitea suhtautui varauksellisesti joihinkin seikkoihin hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, ja sen alustava kanta oli, ettei Kyndrisaa olisi voitu hyväksyä Duchennen lihasdystrofian hoitoon.

Komitea katsoi, että kliinisistä tutkimuksista saadut tiedot eivät osoittaneet Kyndrisan suotuisaa vaikutusta riittävästi: päätutkimus ei osoittanut tästä sairaudesta kärsiville potilaille koituvan minkäänlaista hyötyä, kun taas kahdessa muussa tutkimuksessa suotuisaa vaikutusta ei pystytty osoittamaan johdonmukaisesti. Myöskään lääkkeen turvallisuusprofiilia ei pidetty hyväksyttävänä. Tämä johtui osittain siitä, että pistoskohdan pysyvien reaktioiden (kuten turvotuksen, tulehduksen ja haavaumien) riskillä voi olla kielteinen vaikutus elämänlaatuun. Myös trombosytopenian (verihitataleniukkuuden) riski voi aiheuttaa potilaille vakavien verenvuotokomplikaatioiden riskin. Lisäksi komitea kyseenalaisti lääkevalmisteen sterilointiin ehdotetun menetelmän.

Siksi lääkevalmistekomitea katsoi hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, ettei Kyndrisan hyöty ole sen riskejä suurempi.

Mistä syistä yhtiö peruutti hakemuksen?

Kirjeessään, jossa yhtiö ilmoittaa virastolle hakemuksen peruuttamisesta, se ilmoitti peruuttavansa hakemuksen, koska se ei pysty käsittelemään kliinisten tutkimusten tuloksiin liittyviä lääkevalmistekomitean huolenaiheita annetussa määräajassa.

Yhtiön kirje hakemuksen peruuttamisesta on luettavissa [tässä](#).

Mitä seurauksia tämän hakemuksen peruuttamisesta on kliinisiin tutkimuksiin tai erityiskäyttöohjelmiin osallistuvilla potilaille?

Yhtiö ilmoitti, että se aikoo lopettaa lääkkeen kehittämisen mutta että se aikoo tehdä yhteistyötä lääkäreiden, potilaiden ja paikallisten valvontaviranomaisten kanssa, jotta nyt Kyndrisalla hoidetut potilaat voivat käyttää sitä vielä sen aikaa, kun sitä on jäljellä.

Jos olet mukana kliinisessä tutkimuksessa ja tarvitset lisätietoa hoidostasi, ota yhteyttä hoitavaan lääkäriin.