



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

29. toukokuuta 2019
EMA/293450/2019
EMA/H/C/004938

Radicavaa (edaravoni) koskevan myyntilupahakemuksen peruuttaminen

Mitsubishi Tanabe Pharma GmbH -yhtiö ilmoitti 24. toukokuuta 2019 virallisesti lääkevalmistekomitealle (CHMP) haluavansa peruuttaa amyotrofisen lateraaliskleroosin (ALS) hoitoon tarkoitettua Radicava-lääkevalmistetta koskevan myyntilupahakemuksensa.

Mitä Radicava on?

Radicava on lääke, jonka vaikuttava aine on edaravoni. Sitä oli määrä saada laskimoon annettavana infuusionesteenä, liuoksena (tiputus laskimoon).

Mihin Radicava-valmistetta oli tarkoitus käyttää?

Radicavalla oli tarkoitus hoitaa potilaita, joilla on amyotrofinen lateraaliskleroosi (ALS). ALS on hermostosairaus, jossa tahdonalaisia liikkeitä ohjaavat aivojen ja selkärangan hermosolut rappeutuvat vähitellen. Tämä johtaa lihasten toimintakyvyn menetykseen ja halvaantumiseen.

Radicavaa oli tarkoitus käyttää hidastamaan sairauden pahenemista potilailla, jotka selviytyvät yhä tavanomaisista päivittäisistä toimista.

Radicava nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisissa sairauksissa käytettävä lääke) 19. kesäkuuta 2015 ALS:n hoitoa varten. Katso lisätietoja [harvinaislääkkeeksi](#) nimeämisestä.

Miten Radicava vaikuttaa?

Radicavan tarkkaa vaikutustapaa ALS-potilaisiin ei tunneta, mutta sen ajatellaan neutraloivan happea sisältäviä molekyyliä, ns. vapaita radikaaleja, jotka on yhdistetty ALS-potilaiden hermovaurioihin.

Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?

Yhtiö esitti tuloksia päätutkimuksesta, johon osallistui 137 joko Radicavaa tai lumelääkettä saanutta ALS-potilasta. Tutkimuksessa tarkasteltiin, miten paljon potilaiden oireet muuttuivat 24 viikon aikana vakio-asteikolla ALSFRS-R-luokitteluasteikolla (ALS functional rating scale revised) tarkasteltuna. Lääkärit käyttivät tätä asteikkoa pisteyttämään sitä, miten hyvin potilaat voivat puhua, hengittää, syödä ja suorittaa muita tavanomaisia toimia.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Miten pitkällä hakemuksen arviointi oli, kun se peruutettiin?

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

Mikä lääkevalmistekomitean suositus oli tuolloin?

Peruuttamisen ajankohtana lääkevalmistekomitealla oli joitakin huolenaiheita, ja sen alustavana kantana oli, että Radicavalle ei olisi voitu myöntää myyntilupaa.

Komitea pani merkille, että päätutkimuksessa osoitettiin merkitsevää parannusta ALSFRS-R-pisteissä potilailla, jotka saivat Radicavaa, lumelääkkeeseen verrattuna. Tutkimukseen osallistui kuitenkin vain vähän potilaita, eikä paranemisesta, esimerkiksi eloonjäämisen, hengittämisen ja lihasvoiman osalta, ollut riittävästi muilla tärkeillä mitoilla saatua näyttöä.

Lisäksi lääkevalmistekomitea havaitsi näiden kahden ryhmän välillä merkittäviä eroja, jotka ovat voineet vaikuttaa lopullisiin tuloksiin, kuten sen, että Radicava-ryhmässä oli enemmän sellaisia potilaita, joiden sairaus oli vähemmän vakava. Kun lumelääkeryhmän potilaat vaihtoivat myöhemmin Radicava-valmisteeseen, havaittavaa vaikutusta ei ollut.

Lääkevalmistekomitea oli huolissaan myös Radicavan hyödyn kestosta ja totesi, että 24 viikkoa – päätutkimuksessa käytetty katkaisupiste – on liian lyhyt aika ja että tutkimuksen jatkovaiheesta saadut tiedot olivat vaikeasti tulkittavissa.

Koska Radicavan tehosta on selkeä tarve saada lisänäyttöä, komitea harkitsi ehdollisen hyväksynnän mahdollisuutta, jolloin yhtiö voisi toimittaa lisää tietoja myöhemmin. Lääkeyhtiö ehdotti rekisteritutkimusta, jossa Radicavaa saaneita potilaita verrattaisiin potilaisiin, jotka ovat saaneet aikaisemmin muita hoitoja ALS:iin. Komitea pohti tällaisen tutkimuksen hyviä puolia, mutta totesi sille olevan joitakin esteitä, kuten sen, että ALS-hoito on muuttunut merkittävästi viime vuosien aikana, mikä vaikeuttaa vertailua.

Arvioinnin aikana lääkevalmistekomitea kuuli alan asiantuntijoista koostunutta ryhmää saadakseen heiltä näkemyksiä tutkimustuloksista, ehdotetusta rekisteristä sekä potilaspopulaatiosta, joka voisi mahdollisesti hyötyä Radicava-hoidosta. Komitean kantana hakemuksen peruuttamisen ajankohtana oli, että koska tehoa ei ole voitu osoittaa, Radicavan hyöty ei ole sen riskejä suurempi.

Mistä syistä yhtiö peruutti hakemuksen?

Kirjeessä, jossa yhtiö ilmoitti virastolle hakemuksen peruuttamisesta, yhtiö totesi peruuttamisen perustuvan komission alustavaan kantaan tutkimustiedoista. Peruuttamista koskeva kirje on [tässä](#).

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

Yhtiö ilmoitti lääkevalmistekomitealle, että peruuttaminen ei vaikuta millään tavalla meneillään oleviin kliinisiin tutkimuksiin. Yhtiö jatkaa meneillään olevia erityiskäyttöohjelmiaan niin pitkään kuin käydään keskusteluja niiden kansallisten viranomaisten kanssa, jotka ovat jo antaneet hyväksynnän erityisluvallista käyttöä varten.