



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

24. tammikuuta 2014
EMA/33514/2014
EMA/H/C/002683

Kysymyksiä ja vastauksia

Lääkevalmisteen Winfuran (nalfurafiini) myyntilupahakemuksen peruuttaminen

Toray International U.K. Limited ilmoitti 17. tammikuuta 2014 virallisesti lääkevalmistekomitealle (CHMP) haluavansa peruuttaa dialyysihoitoa edellyttävää loppuvaiheen munuaissairautta sairastavien potilaiden ureemisen kutinan hoitoon tarkoitettua Winfuran-lääkevalmistettä koskevan myyntilupahakemuksensa.

Mitä Winfuran on?

Winfuran on lääke, jonka vaikuttava aine on nalfurafiini. Sitä oli määrä olla saatavana konsentraattina, josta valmistetaan liuos infuusiota varten.

Mihin valmistetta Winfuran oli tarkoitus käyttää?

Winfurania oli tarkoitus käyttää potilaille, joilla on vaikea ureeminen kutina. Ureeminen kutina on sitkeää kutinaa, jota esiintyy joillakin potilailla, joiden munuaiset eivät toimi asianmukaisesti. Winfurania oli tarkoitus käyttää potilailla, joilla on loppuvaiheen munuaissairaus (jossa munuaisten toiminta on lakannut täysin) ja jotka saavat dialyysihoitoa (menetelmä, jolla poistetaan kuona-aineita verestä).

Winfuran määriteltiin ureemisen kutinan hoitoon tarkoitetuksi harvinaislääkkeeksi (harvinaisen sairauden hoitoon tarkoitettu lääke) 11. syyskuuta 2002. Lisätietoja on [tässä](#).

Miten valmisteen Winfuran odotettiin vaikuttavan?

Ureemisen kutinan tarkkaa aiheuttajaa ei tunneta, mutta kutinan arvellaan liittyvän aivojen ja ihon mu-opioidireseptorien liika-aktiivisuuteen. Winfuran aktivoi toisia opioidireseptoreita nimeltä kappa-reseptorit. Ne estävät mu-opioidireseptorien aktiivisuutta, mikä lievittää ureemisesta kutinasta kärsivien potilaiden kutinaa.

7 Westferry Circus • Canary Wharf • London E14 4HB • United Kingdom

Telephone +44 (0)20 7418 8400 **Facsimile** +44 (0)20 7523 7129

E-mail info@ema.europa.eu **Website** www.ema.europa.eu

An agency of the European Union



Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?

Winfuranin vaikutuksia on testattu koemalleilla ennen sen tutkimista ihmisillä.

Winfuranin vaikutuksia verrattiin lumelääkkeeseen yhdessä päätutkimuksessa, johon osallistui 339 potilasta, joilla oli ureeminen kutina ja jotka saivat säännöllistä dialyysihoitoa. Tehon päämittari oli oireissa, kuten kutinan voimakkuudessa ja unihäiriöissä, tapahtunut muutos neljän hoitoviikon jälkeen vakiopesteytysjärjestelmällä mitattuna.

Miten pitkällä hakemuksen arviointi oli sen peruuttamishetkellä?

Arviointi oli päättynyt ja lääkevalmistekomitea oli antanut kielteisen lausunnon.

Mikä oli lääkevalmistekomitean suositus tuolloin?

Lääkevalmistekomitea oli antanut saamiensa tietojen tarkastelun perusteella kielteisen lausunnon, jossa se suositteli myyntiluvan epäämistä Winfuranilta vakavan ureemisen kutinan hoitoa varten.

Lääkevalmistekomitean päähuolenaihe oli, että Winfuranin hyötyjä ureemisen kutinan hoidossa ei ollut osoitettu riittävän hyvin. Päätutkimus ei osoittanut, että Winfuran olisi lievittänyt kutinaa tehokkaammin kuin lumelääke. Vaikka lisäanalyysi osoitti, että valmisteesta oli hieman hyötyä vakavaa ureemista kutinaa sairastavien potilaiden alaryhmälle, lääkevalmistekomitea katsoi, että kliinistä merkitystä ei ollut osoitettu. Siksi lääkevalmistekomitea katsoi hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, että Winfuranista saatava hyöty ei ole sen riskejä suurempi ja ettei lääkevalmistetta olisi voitu hyväksyä yhtiön esittämien tietojen perusteella.

Mistä syistä yhtiö peruutti hakemuksen?

Yhtiö ilmoitti virallisessa kirjeessä päättäneensä peruuttaa myyntilupahakemuksen, koska lääkevalmistekomitea katsoi, ettei se voinut tehdä päätelmää myönteisestä hyöty-riskisuhteesta toimitettujen tietojen perusteella.

Yhtiön kirje, jossa se ilmoittaa lääkevirastolle hakemuksen peruuttamisesta, on tässä.

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

Yhtiö ilmoitti lääkevalmistekomitealle, ettei Winfuranista ole tällä hetkellä meneillään kliinisiä tutkimuksia tai erityiskäyttöohjelmia.