



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

18. oktober 2019
EMA/559880/2019
EMA/H/C/001110/II/0049

Afslag på ansøgningen om ændring af markedsføringstilladelsen for Revolade (eltrombopag)

Bekræftelse af afslag efter revurdering

Efter revurdering af sin oprindelige udtalelse har Det Europæiske Lægemiddelagentur bekræftet sin anbefaling om at afvise en ændring af markedsføringstilladelsen for lægemidlet Revolade. Ændringen vedrørte en udvidelse af indikationen til også at omfatte behandling af tidligere ubehandlede patienter med svær aplastisk anæmi i alderen 12 år og derover, som ikke kan få stamcelletransplantation (en procedure, hvor cellerne i patientens knoglemarv fjernes og erstattes med stamceller fra en donor).

Agenturet afgav denne udtalelse den 17. oktober 2019 efter at have afsluttet revurderingen. Agenturet afgav sin første udtalelse den 27. juni 2019. Den virksomhed, der har indgivet ansøgningen om ændring af markedsføringstilladelsen, er Novartis Europharm Limited.

Hvad er Revolade, og hvad anvendes det til?

Revolade er et lægemiddel til behandling af:

- patienter i alderen 1 år og derover med immun trombocytopeni (en sygdom, hvor patientens immunsystem ødelægger blodpladerne og dermed giver risiko for blødning), hvis anden sædvanlig behandling ikke har virket
- trombocytopeni hos voksne med kronisk (langvarig) hepatitis C, hvor sygdommen forhindrer anvendelse af visse typer hepatitis C-behandling
- voksne med svær aplastisk anæmi (en sygdom, hvor knoglemarven ikke laver nok blodlegemer eller blodplader), hvis immunsupprimerende behandling (lægemidler, der sænker kroppens immunforsvar) ikke har virket, og patienten ikke kan få knoglemarvstransplantation.

Revolade har været godkendt i EU siden marts 2010. Det indeholder det aktive stof eltrombopag og fås som tabletter og som pulver, der skal blandes med vand og indtages gennem munden.

Yderligere information om de nuværende anvendelser af Revolade findes på agenturets websted: ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/revolade.

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



Hvilken ændring havde virksomheden ansøgt om?

Virksomheden havde oprindeligt ansøgt om en udvidelse af indikationen til også at omfatte behandling af svær aplastisk anæmi hos tidligere ubehandlede voksne og børn i alderen 2 år og derover. Under den indledende vurdering ændrede virksomheden den anførte indikation til kun at omfatte patienter i alderen over 12 år, der ikke kan få stamcelletransplantation.

Hvordan virker Revolade?

Et hormon i kroppen, der hedder trombopoietin, stimulerer produktionen af blodplader og visse typer blodlegemer ved at binde til bestemte receptorer (målrceptorer) i knoglemarven. Det aktive stof i Revolade, eltrombopag, binder også til og stimulerer trombopoietinreceptorerne. Derved øges produktionen af blodplader og visse andre blodlegemer, så blodplade- og blodcelletallet forbedres.

Hvilken dokumentation fremlagde virksomheden til støtte for sin ansøgning?

Virksomheden fremlagde data fra et studie af 153 patienter i alderen 3 år og derover med svær aplastisk anæmi, der ikke tidligere havde fået immunsupprimerende behandling. I dette studie blev Revolade kombineret med immunsuppressiva, der anvendes til behandling af aplastisk anæmi. Behandlingen ansås for at være vellykket, hvis mængden af hvide blodlegemer, blodplader og hæmoglobin hos patienten steg til tilfredsstillende niveauer.

Hvad var hovedårsagerne til at afvise ændringen af markedsføringstilladelsen?

Studiets udformning blev vurderet uegnet til at påvise Revolades effektivitet ved behandling af svær aplastisk anæmi hos tidligere ubehandlede patienter. I studiet blev der ikke foretaget en direkte sammenligning mellem Revolade i kombination med immunsuppressiva og immunsuppressiva alene. I stedet blev der foretaget en sammenligning med patienter i behandling med immunsuppressiva i andre studier. En sådan sammenligning gør det ikke muligt at drage pålidelige konklusioner om Revolades virkning ved anvendelse sammen med immunsuppressiva. Desuden foreligger der ikke tilstrækkelige data om anvendelse af Revolade hos børn.

Agenturet er derfor af den opfattelse, at benefit/risk-forholdet for Revolade ved indledende behandling af svær aplastisk anæmi ikke er klarlagt. Agenturet anbefalede derfor afslag på ansøgningen om ændring af markedsføringstilladelsen. Det oprindelige afslag blev bekræftet efter revurderingen.

Hvilke konsekvenser har afslaget for patienter, der deltager i kliniske studier?

Virksomheden har informeret agenturet om, at der ikke er nogen konsekvenser for patienter, der får Revolade til indledende behandling af svær aplastisk anæmi i kliniske studier eller programmer for anvendelse med særlig udleveringstilladelse.

Hvis du deltager i et klinisk studie og har behov for yderligere oplysninger om din behandling, kan du kontakte den læge, der behandler dig.

Hvad sker der med Revolade til behandling af andre sygdomme?

Der er ingen konsekvenser ved brug af Revolade i de godkendte indikationer.