



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Avslag på ansökan om ändring av godkännandet för försäljning av Revolade (eltrombopag)

Förnyad prövning bekräftar avslaget

Efter förnyad prövning av sitt ursprungliga yttrande har Europeiska läkemedelsmyndigheten bekräftat sin rekommendation att avslå ansökan om ändring av godkännandet för försäljning av läkemedlet Revolade. Ändringen avsåg en utökning av indikationen till att även omfatta behandling av tidigare obehandlade patienter med svår aplastisk anemi från 12 års ålder som inte kan få stamcellstransplantation (ett förfarande där patientens benmärg rensas från celler och ersätts av stamceller från en donator).

Myndigheten utfärdade detta yttrande den 17 oktober 2019 efter att ha avslutat den förnyade prövningen. Myndigheten hade utfärdat sitt ursprungliga yttrande den 27 juni 2019. Företaget som ansökte om ändringen av godkännandet var Novartis Europharm Limited.

Vad är Revolade och vad används det för?

Revolade används för att behandla

- patienter från 1 års ålder med immun trombocytopeni (när patientens immunsystem förstör blodplättar, eller s.k. trombocyter, vilket gör att patienten riskerar att blöda), om annan vanlig behandling inte har verkat,
- trombocytopeni hos vuxna med kronisk (långvarig) hepatit C när sjukdomen förhindrar användningen av vissa typer av hepatit C-behandling,
- vuxna med svår aplastisk anemi (när benmärgen inte producerar tillräckligt med blodkroppar eller blodplättar), om immunsuppressiv behandling (läkemedel som sänker kroppens immunförsvar) inte har verkat och patienten inte kan genomgå benmärgstransplantation.

Revolade har varit godkänt i EU sedan mars 2010. Det innehåller den aktiva substansen eltrombopag och finns som tablett och som ett pulver som ska lösas upp i vätska och tas genom munnen.

Mer information om Revolades nuvarande användningar finns på EMA:s webbplats:

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



Vilken ändring hade företaget ansökt om?

Företaget ansökte ursprungligen om en utökning av indikationen till att även omfatta behandling av svår aplastisk anemi hos tidigare obehandlade vuxna och barn från 2 års ålder. Under den ursprungliga utvärderingen ändrade sedan företaget den föreslagna indikationen till att bara omfatta patienter över 12 års ålder som inte kan genomgå benmärgstransplantation.

Hur verkar Revolade?

Det finns ett hormon, trombopoietin, i kroppen som stimulerar produktionen av blodplättar och vissa typer av blodkroppar genom att binda till vissa receptorer (mål) i benmärgen. Den aktiva substansen i Revolade, eltrombopag, binder också till trombopoietinreceptorerna och stimulerar dem. Detta ökar produktionen av blodplättar och vissa andra blodkroppar, så att antalet blodplättar och vita blodkroppar förbättras.

Vad har företaget lämnat in som stöd för sin ansökan?

Företaget lämnade in data från en studie på 153 patienter från 3 års ålder med svår aplastisk anemi som inte tidigare fått immunsuppressiv behandling. I studien kombinerades Revolade med immunsuppressiva medel som används för att behandla aplastisk anemi. Behandlingen ansågs vara framgångsrik om antalet vita blodkroppar, antalet blodplättar och hemoglobinvärdet hos patienten ökade till godtagbara nivåer.

Vilka var de främsta skälen till att avslå ansökan om ändring av godkännandet för försäljning?

Studiens utformning ansågs inte kunna visa att Revolade är effektivt för behandling av svår aplastisk anemi hos tidigare obehandlade patienter. I studien gjordes ingen direkt jämförelse mellan Revolade kombinerat med immunsuppressiv behandling och med endast immunsuppressiv behandling. Istället jämförde man med patienter som behandlades med immunsuppressiva medel i andra studier. En sådan jämförelse förhindrar att tillförlitliga slutsatser dras om effekten av Revolade vid tillägg till immunsuppressiva medel. Vidare saknades det tillräckliga data om användningen av Revolade till barn.

Därför ansåg myndigheten att nytta-riskförhållandet för Revolade vid den inledande behandlingen av svår aplastisk anemi inte kunde fastställas. Myndigheten rekommenderade därför att ändringen av godkännandet för försäljning avslås. Det ursprungliga avslaget bekräftades efter förnyad prövning.

Påverkar detta avslag patienter som deltar i kliniska prövningar?

Företaget informerade myndigheten om att detta inte har några följder för patienter som får Revolade för inledande behandling av svår aplastisk anemi i kliniska prövningar eller s.k. compassionate use-program.

Om du deltar i en klinisk prövning och behöver mer information om din behandling kan du kontakta läkaren i den kliniska prövningen.

Vad händer med Revolade vid behandling av andra sjukdomar?

Återkallandet får inga följder för användningen av Revolade vid dess godkända indikationer.