

23. maaliskuuta 2018
EMA/165563/2018
EMA/H/C/000332

Aranesp-valmisteen (darbepoetiini alfa) myyntiluvan muutosta koskevan hakemuksen peruuttaminen

Amgen Europe B.V. ilmoitti lääkevalmistekomitealle 21. helmikuuta 2018 virallisesti haluavansa peruuttaa hakemuksensa, joka koski myelodysplastisista oireyhtymistä kärsivien aikuisten anemian hoidon lisäämistä myyntilupaan.

Mitä Aranesp on?

Aranesp on lääke, jolla jo hoidetaan anemiasa (veren punasolunpuutusta), joka aiheuttaa oireita seuraaville potilasryhmille:

- aikuiset ja lapset, joilla on krooninen munuaisten vajaatoiminta (munuaisten toiminnan pitkäaikainen ja etenevä heikkeneminen)
- aikuiset, joiden ei-myeloidista syöpää (syöpää, joka ei ole luuydinperäinen) hoidetaan kemoterapialla.

Aranesp sai myyntiluvan kesäkuussa 2001. Sen vaikuttava aine on darbepoetiini alfa.

Lisätietoja Aranespin tämänhetkistä käyttöaiheista on viraston verkkosivustolla [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).

Mihin Aranespia oli tarkoitus käyttää?

Aranespia oli tarkoitus käyttää myös myelodysplastisia oireyhtymiä (luuydinsairauksien ryhmä) sairastavien potilaiden anemian hoidossa. Lääkettä oli määrä antaa potilaille, jotka eivät tarvitse usein verensiirtoja ja joilla oli pieni tai kohtalainen riski, että sairaus etenee akuutiksi myeloidiseksi leukemiaksi (AML, veren valkosolujen syöpä).

Miten Aranesp vaikuttaa?

Myelodysplastisia oireyhtymiä sairastavien potilaiden anemian hoidossa Aranespin odotettiin vaikuttavan samalla tavalla kuin nykyisissä käyttöaiheissa. Aranespin vaikuttava aine, darbepoetiini

alfa, vaikuttaa täsmälleen samalla tavalla kuin luonnollinen hormoni nimeltä erytropoietiini, jota munuaiset tuottavat punasolujen tuotannon stimuloimiseksi, mutta se on rakenteeltaan hieman erilainen. Darbepoietiini alfa vaikuttaa pidempään, joten sitä voidaan antaa harvemmin kuin luonnollista erytropoetiinia. Aranesp vaikuttaa samalla tavoin kuin erytropoietiini stimuloimalla elimistöä tuottamaan lisää punasoluja ja hoitaa näin anemias.

Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?

Hakija esitti tietoja kahdesta päätutkimuksesta, joihin osallistui 356 myelodysplastisista oireyhtymistä kärsivää anemiapotilasta. Ensimmäisessä tutkimuksessa Aranespia verrattiin lumelääkkeeseen 24 viikon ajan. Tehon päämittana oli punasolusiirtojen määrän väheneminen. Toisessa tutkimuksessa kaikki potilaat saivat Aranespia 13 viikon ajan. Tutkimuksessa mitattiin veren hemoglobiinin, punasolujen pääainesosan, pitoisuus.

Miten pitkällä hakemuksen arviointi oli, kun se peruutettiin?

Hakemus peruutettiin sen jälkeen, kun lääkevalmistekomitea oli arvioinut yhtiön alkuvaiheessa toimittamat asiakirjat ja laatinut luettelon kysymyksistä. Yhtiö ei ollut vielä vastannut näihin kysymyksiin hakemuksen peruuttamisen ajankohtana.

Mikä oli lääkevalmistekomitean suositus tuolloin?

Lääkevalmistekomitea suhtautui saamiensa tietojen tarkastelun perusteella varauksellisesti joihinkin seikkoihin hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, ja sen alustava kanta oli, että Aranespia ei olisi voitu hyväksyä myeloplastisista oireyhtymistä kärsivien aikuispotilaiden anemian hoitoon.

Lääkevalmistekomitea katsoi, että yhden tutkimuksen suunnitelmaan tehdyt muutokset ja suuren potilasmäärän jättäminen pois tulosten analyysistä herättää kysymyksiä aineiston validiteetista. Lisäksi yksi Yhdysvalloissa tehty tutkimus ei vastaa EU:n suosituksia myelodysplastisista oireyhtymästä kärsivien potilaiden hoidosta.

Siksi lääkevalmistekomitea katsoi hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, että tutkimuksen tulokset eivät olleet luotettavia ja että lääkkeen käyttöaiheiden muutosta ei olisi voitu hyväksyä yhtiön esittämien tietojen perusteella.

Mistä syistä yhtiö peruutti hakemuksen?

Kirjeessään, jossa yhtiö ilmoittaa virastolle hakemuksen peruuttamisesta, se toteaa peruutuksen syyksi lääkevalmistekomitean lausunnon, jonka mukaan komitea ei voi hyväksyä lääkkeen käyttöä myelodysplastisissa oireyhtymissä toimitettujen tietojen perusteella.

Peruuttamista koskeva kirje on [tässä](#).

Mitä seurauksia tämän hakemuksen peruuttamisesta on klinisiin tutkimuksiin osallistuvilla potilaille?

Yhtiö ilmoitti virastolle, että meneillään ei ole Amgenin rahoittamia klinisiä tutkimuksia Aranespista.

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

Miten tämä vaikuttaa Aranespin hyväksyttyihin käyttöaiheisiin?

Tämä ei vaikuta Aranespin käyttöön sen jo hyväksytyissä käyttöaiheissa.