



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

16. joulukuuta 2016
EMA/847130/2016
EMA/H/C/001131/II/45/G

Kysymyksiä ja vastauksia

Arzerra-valmisteen (ofatumumabi) myyntiluvan muutosta koskevan hakemuksen peruuttaminen

Novartis Europharm Ltd ilmoitti 8. marraskuuta 2016 virallisesti lääkevalmistekomitealle (CHMP) haluavansa peruuttaa Arzerran myyntiluvan muutosta koskevan hakemuksensa, joka koski Arzerran käyttöä uudessa yhdistelmässä bendamustiinin kanssa uusiutuneen kroonisen lymfaattisen leukemian (KLL) hoitoon.

Mitä Arzerra on?

Arzerra on syöpälääke, jota käytetään kroonisen lymfaattisen leukemian (KLL) hoitoon. KLL on imusolujen (erääntytyypisten veren valkosolujen) syöpä. Sitä käytetään yhdessä klorambusiilin tai bendamustiinin (muuta syöpälääkkeitä) kanssa aikaisemmin hoitamattomilla potilailla, joilla ei voida käyttää toiseen syöpälääkkeeseen fludarabiiniin perustuvaa hoitoa. Arzerraa voidaan antaa myös sellaisille potilaille, joilla ei ole saatu hoitovastetta aiemmalla fludarabiini- ja alemtutsumabihoidolla¹.

Arzerra sai myyntiluvan huhtikuussa 2010. Arzerran vaikuttava aine on ofatumumabi, ja sitä on saatavana konsentraattiina, josta valmistetaan infuusioliuos (tiputus laskimoon).

Arzerra nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisissa sairauksissa käytettävä lääke) 7. marraskuuta 2008 KLL:n hoitoa varten. Lisätietoja harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on [tässä](#).

Mihin Arzerraa oli tarkoitus käyttää?

Arzerraa oli tarkoitus käyttää myös yhdistelmässä bendamustiinin kanssa uusiutuneen kroonisen lymfaattisen leukemian (KLL) hoitoon (KLL, joka on uusiutunut aiemman hoidon jälkeen).

¹ Lääkevalmistekomitea antoi 10. marraskuuta 2016 myönteisen lausunnon, jossa se suositteli laajentamista tähän käyttöaiheeseen:
http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/medicines/human/medicines/001131/smops/Positive/human_smop_001049.jsp&mid=WC0b01ac058001d127

Miten Arzerra vaikuttaa?

Arzerran vaikuttava aine ofatumumabi on monoklonaalinen vasta-aine, proteiini, joka tunnistaa toisen proteiinin nimeltä CD20 ja sitoutuu siihen lymfosyyttien, myös KLL:ssä tavattavien pahanlaatuisten lymfosyyttien pinnalla. Kiinnittymällä CD20-proteiiniin ofatumumabi stimuloi kehon immuunijärjestelmää hyökkäämään syöpäsoluja vastaan ja auttaa näin ollen saamaan sairauden hallintaan.

Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?

Yhtiö esitti tiedot tutkimuksesta, johon osallistui 53 potilasta, joiden KLL oli uusiutunut. Kaikki potilaat saivat Arzerraa sekä bendamustiinia. Tutkimuksessa Arzerraa ei verrattu muuhun hoitoon. Tehon pääasiallisena mittana oli niiden potilaiden määrä, joilla havaittiin täydellinen tai osittainen hoitovaste.

Miten pitkällä hakemuksen arviointi oli sen peruuttamishetkellä?

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

Mikä oli lääkevalmistekomitean suositus tuolloin?

Lääkevalmistekomitea suhtautui saamiensa tietojen tarkastelun perusteella varauksellisesti joihinkin seikkoihin hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, ja sen alustava kanta oli, että Arzerraa ei olisi voitu hyväksyä uusiutuneen KLL:n hoitoon yhdessä bendamustiinin kanssa.

Lääkevalmistekomitea oli huolestunut siitä, että Arzerraa ei tutkimuksessa verrattu muuhun lääkkeeseen ja että se koski vain 53 potilasta, joilla oli uusiutunut KLL. Lisäksi vaikka joillakin potilailla (39 potilaalla 53 potilaasta) havaittiin hoitovaste Arzerran ja bendamustiinin yhdistelmälle, vain muutaman potilaan (6 potilasta 53 potilaasta) hoitovaste oli täydellinen, eivätkä muut tutkimustulokset tukeneet näitä tietoja.

Siksi lääkevalmistekomitea katsoi hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, että tutkimuksen tulokset eivät olleet luotettavia ja ettei lääkevalmistetta olisi voitu hyväksyä yhtiön esittämien tietojen perusteella.

Mistä syistä yhtiö peruutti hakemuksen?

Kirjeessään, jossa yhtiö ilmoittaa virastolle hakemuksen peruuttamisesta, se toteaa, että päätös perustuu lääkevalmistekomitean huomautuksiin, jotka koskivat tutkimuksen ja sen potilasryhmän suunnittelua.

Yhtiön kirje, jossa se ilmoittaa lääkevirastolle hakemuksen peruuttamisesta, on luettavissa [tässä](#).

Mitä seurauksia tämän hakemuksen peruuttamisesta on kliinisiin tutkimuksiin osallistuvilla potilaille?

Yritys ilmoitti lääkevalmistekomitealle, ettei peruuttamisesta ole mitään seurauksia potilaille, jotka osallistuvat tai saattavat osallistua Arzerraa koskeviin kliinisiin tutkimuksiin. Jos olet mukana kliinisessä tutkimuksessa ja tarvitset lisätietoa hoidostasi, ota yhteyttä hoitavaan lääkäriin.

Mitä tapahtuu Arzerra-valmisteen käytölle muiden sairauksien hoidossa?

Tällä ei ole mitään seurauksia Arzerran käytölle sen jo hyväksytyissä käyttöaiheissa.

Arzerra-valmistetta koskeva EPAR-arviointilausunto on kokonaisuudessaan viraston verkkosivustolla osoitteessa [ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports).