



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

13. lokakuuta 2023
EMA/495641/2023
EMA/H/C/000955/II/0114

RoActemran myyntiluvan muuttamista koskevan hakemuksen peruuttaminen (tosilitsumabi)

Roche Registration GmbH peruutti hakemuksensa, joka koski RoActemran käyttöä systeemiseen skleroosiin liittyvän interstitiaalisen keuhkosairauden (keuhkojen arpeutumista aiheuttava sairaus) hoidossa. Systeeminen skleroosi on sairaus, jossa immuunijärjestelmä (elimistön luonnollinen puolustusmekanismi) on yliaktiivinen, mikä aiheuttaa ihon sidekudoksen epänormaalia muodostumista (paksuuntumista) ja sisäelinvaurioita, mukaan lukien keuhkojen etenevä arpeutuminen.

Yritys peruutti hakemuksen 13. syyskuuta 2023.

Mitä RoActemra on ja mihin sitä käytetään?

RoActemra on lääke, jota käytetään aikuisten tulehdussairauksien, kuten nivelreuman, ja lasten systeemisen juveniilin idiopaattisen artriitin hoitoon. RoActemraa voidaan antaa myös covid-19-tautia sairastaville aikuisille, joita hoidetaan suun kautta tai injektiona annettavilla kortikosteroidilääkkeillä ja jotka tarvitsevat lisähapetta tai mekaanista ventilaatiota.

RoActemralla on ollut myyntilupa EU:ssa tammikuusta 2009 lähtien. Sen vaikuttava aine on tosilitsumabi, ja sitä on saatavana ihon alle injisoitavana liuoksena ja konsentraattina, josta valmistetaan liuos infuusiota (laskimonsisäistä tiputusta) varten.

Lisätietoja RoActemran käytöstä on viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/RoActemra

Mitä muutosta yhtiö haki?

Yhtiö haki käyttöaiheen laajentamista siten, että siihen lisättäisiin systeemiseen skleroosiin liittyvän interstitiaalisen keuhkosairauden hoito aikuisilla. Lääkevalmistetta oli tarkoitus käyttää hidastamaan keuhkojen toiminnan heikkenemistä.

Miten RoActemra vaikuttaa?

RoActemran vaikuttava aine tosilitsumabi on monoklonaalinen vasta-aine. Se on eräntyyppinen proteiini, joka on suunniteltu tunnistamaan tietty kohde elimistössä ja kiinnittymään siihen. Tosilitsumabi kiinnittyy tulehdukseen osallistuvien interleukiini 6 -nimisten viestimolekyylien reseptoreihin. Interleukiini 6 -viestimolekyyliä esiintyy suurina määrinä potilailla, joilla on monia

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



tulehdussairauksia. Estämällä interleukiini 6:n kiinnittymisen reseptoreihinsa tosilitsumabi vähentää tulehdusta ja muita näiden sairauksien oireita. Systeemiseen skleroosiin liittyvässä interstitiaalisessa keuhkosairaudessa RoActemran odotetaan vaikuttavan samalla tavalla kuin nykyisissä käyttöaiheissa.

Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?

Yhtiö toimitti tulokset kahdesta tutkimuksesta, joissa RoActemraa verrattiin lumelääkkeeseen systeemistä skleroosia sairastavilla potilailla. Tehon pääasiallisena mittana oli muutos potilaiden ihon paksuudessa mitattuna mRSS-asteikolla (modified Rodnan Skin Score) 48 viikon jälkeen. Tutkimuksissa tarkasteltiin myös potilaiden keuhkojen toiminnan heikkenemistä 48 viikon aikana, mitä mitattiin keuhkojen nopean vitaalikapasiteetin (FVC) perusteella. FVC on enimmäismäärä ilmaa, jonka potilas pystyy syvän sisäänhengityksen jälkeen hengittämään voimakkaasti ulos. Sairauden pahentuessa FVC-arvo pienenee.

Miten pitkällä hakemuksen arviointi oli, kun se peruutettiin?

Hakemus peruutettiin sen jälkeen, kun Euroopan lääkevirasto oli arvioinut yhtiön toimittamat tiedot ja laatinut luettelon kysymyksistä. Kun virasto oli arvioinut yhtiön kysymyksiin antamat vastaukset, joitakin seikkoja oli vielä selvittämättä.

Mikä oli viraston suositus tuolloin?

Saamiensa tietojen ja yhtiön kysymyksiin antamien vastausten perusteella virastolla oli joitakin huolenaiheita, kun hakemus peruutettiin, ja sen alustava kanta oli, että RoActemraa ei olisi voitu hyväksyä systeemiseen skleroosiin liittyvän interstitiaalisen keuhkosairauden hoitoon.

Tutkimuksissa ei havaittu parannusta potilaiden ihon paksuudessa, joka oli tutkimuksissa pääasiallinen tehon mitta systeemisen skleroosin hoidossa. Vaikka lisätutkimukset viittasivat siihen, että RoActemra saattaa hidastaa FVC:n heikkenemistä lumelääkkeeseen verrattuna niiden potilaiden alaryhmässä, joilla oli systeemiseen skleroosiin liittyvä interstitiaalinen keuhkosairaus, näihin tuloksiin liittyi useita epävarmuustekijöitä. Tähän sisältyi epäselvyyttä tavassa määritellä kohdepopulaatio ja sen mahdollisuus, että tulokset olivat sattumaa.

Siksi virasto katsoi hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, ettei RoActemrasta saatava hyöty systeemisen skleroosiin liittyvän interstitiaalisen keuhkosairauden hoidossa ole sen riskejä suurempi.

Mistä syistä yhtiö peruutti hakemuksen?

[Kirjeessään](#), jossa yhtiö ilmoittaa virastolle hakemuksen peruuttamisesta, se toteaa peruuttavansa hakemuksen, koska virasto ei pitänyt tehoa koskevia tietoja riittävinä tukemaan RoActemran käyttöä systeemisen skleroosiin liittyvän interstitiaalisen keuhkosairauden hoidossa.

Mitä seurauksia tämän hakemuksen peruuttamisesta on kliinisiin tutkimuksiin osallistuvilla potilaille?

Yhtiö ilmoitti virastolle, että peruuttamisesta ei ole mitään seurauksia potilaille, jotka osallistuvat RoActemraa koskeviin kliinisiin tutkimuksiin.

Jos olet mukana kliinisessä tutkimuksessa ja tarvitset lisätietoa hoidostasi, keskustele kliinisen tutkimuksen lääkärin kanssa.

Mitä tapahtuu RoActemran käytölle muiden sairauksien hoidossa?

Tämä ei vaikuta RoActemran käyttöön muissa käyttöaiheissa.