



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

28. tammikuuta 2022
EMA/38839/2022
EMA/H/C/004334

Aliqopa-valmistetta (kopanlisibi) koskevan myyntilupahakemuksen peruuttaminen

Bayer AG peruutti Aliqopa-valmistetta koskevan myyntilupahakemuksensa. Aliqopa oli määrä käyttää sellaisten aikuispotilaiden hoitoon, joilla on aiemmin hoidettu marginaaliväyhykkeen lymfooma (MZL). Se on B-lymfosyyteiksi tai B-soluiksi kutsuttujen veren valkosolujen syöpä.

Yhtiö peruutti hakemuksen 20. joulukuuta 2021.

Mitä Aliqopa on ja mihin sitä oli tarkoitus käyttää?

Aliqopa kehitettiin marginaaliväyhykkeen lymfooman hoitoon aikuisilla. Sitä oli tarkoitus käyttää rituksimabiin (eräs toinen syöpälääke) yhdistettynä sellaisten marginaaliväyhykkeen lymfoomaa sairastavien potilaiden hoidossa, joiden sairautta on hoidettu aiemmin, tai yksinään aikuispotilailla, jotka ovat saaneet aiemmin vähintään kahta hoitoa.

Aliqopa-valmisteen vaikuttava aine on kopanlisibi. Valmiste oli tarkoitus antaa infuusiona (tiputuksena) laskimoon.

Lääke nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 24. elokuuta 2018 marginaaliväyhykkeen lymfooman hoitoa varten. Lisätietoja harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on viraston verkkosivustolla: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu3182064>.

Miten Aliqopa vaikuttaa?

Lääkkeen vaikuttavan aineen kopanlisibin odotetaan estävän PI3K-nimisen entsyymin vaikutusta. PI3K osallistuu valkosolujen kasvuun ja elossapysymiseen. Marginaaliväyhykkeen lymfoomaa sairastavilla potilailla se on näissä soluissa yliaktiivinen. Kopanlisibi kohdistuu kyseiseen entsyymiin ja estää sen vaikutuksen. Näin sen odotetaan aiheuttavan syöpäsolujen kuoleman, mikä hidastaa marginaaliväyhykkeen lymfooman etenemistä tai pysäyttää sen.



Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?

Yhtiö esitti tulokset kahdesta päätutkimuksesta. Niissä Aliqopa-valmisteen tehoa tarkasteltiin hidaskasvuista non-Hodgkin-lymfoomaa (iNHL) sairastavilla potilailla ja näiden potilaiden marginaaliväyhykkeen lymfoomaa sairastavalla alaryhmällä. Ensimmäisessä tutkimuksessa Aliqopa-valmistetta verrattiin lumelääkkeeseen. Valmisteen otettiin rituksimabiin yhdistettynä. Tutkimukseen osallistui 95 potilasta, joilla oli aiemmin hoidettu marginaaliväyhykkeen lymfooma, ja siinä tarkasteltiin, kuinka kauan potilaat elivät ilman sairauden pahenemista (etenemättömyysaika). Toisessa tutkimuksessa arvioitiin yksinään käytetyn Aliqopa-valmisteen tehoa 23 potilaalla, jotka sairastivat marginaaliväyhykkeen lymfoomaa ja jotka olivat saaneet vähintään kahta aiempaa hoitoa. Tässä tutkimuksessa Aliqopa-valmistetta ei verrattu mihinkään muuhun hoitoon, ja tehon pääasiallinen mitta oli niiden potilaiden osuus, joilla havaittiin hoitovaste (osittainen tai täydellinen).

Miten pitkällä hakemuksen arviointi oli, kun se peruutettiin?

Hakemus peruutettiin sen jälkeen, kun Euroopan lääkevirasto oli arvioinut yhtiön toimittamat tiedot ja laatinut yhtiölle kysymyksiä. Yhtiö ei ollut vastannut kysymysluetteloon, kun hakemus peruutettiin.

Mikä oli viraston suositus tuolloin?

Virasto suhtautui saamiensa tietojen tarkastelun perusteella varauksella eräisiin seikkoihin hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, ja sen alustava kanta oli, että Aliqopa-valmistetta ei olisi voitu hyväksyä aiemmin hoidetun marginaaliväyhykkeen lymfooman yksilääkehoitoon.

Virasto suhtautui varauksellisesti erityisesti yksilääkehoitoa koskevan tutkimuksen asetelmaan. Vertailuvalmisteen puuttuminen herätti niin ikään kysymyksiä tulosten luotettavuudesta. Hakemuksen peruuttamisen ajankohtana virasto katsoi, että yksilääkehoitotutkimuksessa marginaaliväyhykkeen lymfoomaa sairastavien potilaiden määrä oli liian pieni, jotta sen perusteella voitaisiin tehdä johtopäätöksiä lääkkeen hyödyistä ja turvallisuudesta.

Siksi virasto ei hakemuksen peruuttamisen ajankohtana voinut tehdä päätelmiä Aliqopa-valmisteen tehosta marginaaliväyhykkeen lymfooman hoidossa. Näin ollen virasto katsoi, että Aliqopa-valmisteesta yksilääkehoidossa saatava hyöty ei ole sen riskejä suurempi.

Mistä syistä yhtiö peruutti hakemuksen?

[Kirjeessään](#), jossa yhtiö ilmoittaa virastolle hakemuksen peruuttamisesta, se toteaa, että päätös perustuu tarpeeseen odottaa lisäanalyyskejä/lisätietoja, jotta etenkin yhdistelmähoitoon hyödyt ja riskit voidaan määrittää tarkemmin.

Mitä seurauksia tämän hakemuksen peruuttamisesta on klinisiin tutkimuksiin osallistuville potilaille?

Yhtiö ilmoitti virastolle, että peruuttamisesta ei ole mitään seurauksia Aliqopa-valmistetta koskeviin klinisiin tutkimuksiin osallistuville potilaille.

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