



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

13. marraskuuta 2020  
EMA/594092/2020  
EMA/H/C/005123

## Puldysa-valmistetta (idebenoni) koskevan myyntilupahakemuksen peruuttaminen

Santhera Pharmaceuticals (Deutschland) GmbH on peruuttanut Duchennen lihasdystrofian hoitoon tarkoitettua lääkevalmistetta Puldysa koskevan myyntilupahakemuksensa.

Yhtiö peruutti hakemuksen 28. lokakuuta 2020.

### Mitä Puldysa on ja mihin sitä oli tarkoitus käyttää?

Puldysa kehitettiin lääkkeeksi, jolla oli tarkoitus hoitaa heikkenevää hengitystoimintaa Duchennen lihasdystrofiaa sairastavilla potilailla, joita ei hoideta kortikosteroideilla.

Valmisteen vaikuttava aine on idebenoni, ja sitä oli määrä olla saatavana suun kautta otettavina kalvopäällysteisinä tabletteina.

Puldysa kehitettiin ns. hybridilääkkeeksi. Tämä tarkoittaa sitä, että sen oli tarkoitus olla samanlainen kuin viitevalmiste, joka sisältää samaa vaikuttavaa ainetta ja jolla jo on myyntilupa Euroopan unionin alueella. Puldysan viitevalmiste on Mnesis, jolla on myyntilupa Italiassa glaukooman hoitoon.

Puldysa nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisissa sairauksissa käytettävä lääke) 20. maaliskuuta 2007 Duchennen lihasdystrofian hoitoa varten. Lisätietoja harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on [tässä](#).

### Miten Puldysa vaikuttaa?

Puldysan vaikuttava aine idebenoni on antioksidantti, joka vaikuttaa mitokondrioihin (solun sisällä oleviin rakenteisiin, jotka tuottavat solun toimintaan tarvittavan energian). Duchennen lihasdystrofiaa sairastavilla potilailla mitokondriot eivät toimi kunnolla, vaan ne tuottavat hapen toksisia muotoja, jotka vaurioittavat lihassoluja. Idebenonin uskotaan parantavan energiantuotantoa palauttamalla mitokondrioiden toiminnan, mikä estää soluvaurioita ja lihastoiminnan, kuten hengityslihasten, heikkenemistä.

Idebenoni on saanut myyntiluvan EU:ssa myös kognitiivisten häiriöiden ja käyttäytymisen häiriöiden hoitoon sekä Friedreichin ataksian ja Leberin perinnöllisen näköhermosurkastuman hoitoon.

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



## **Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?**

Yhtiö toimitti tulokset kolmesta päätutkimuksesta, joihin osallistui Duchennen lihasdystrofiaa sairastavia potilaita, joita ei ollut hoidettu kortikosteroideilla. Kahdessa tutkimuksessa Puldysaa verrattiin lumelääkkeeseen, ja sen tehon mittana oli keuhkojen toiminnan paraneminen tai muutos PEF-tuloksessa (hengityskykyä ilmaisevan uloshengityksen huippuvirtauksen arvossa) yhden hoitovuoden jälkeen. Kolmannessa tutkimuksessa Puldysalla hoidettuja potilaita seurattiin kauemmin sen toteamiseksi, säilyikö hoidon vaikutus hengitykseen.

## **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 antamat vastaukset viraston viimeisiin kysymyksiin, joitakin seikkoja oli vielä selvittämättä.

## **Mikä oli viraston suositus tuolloin?**

Virasto suhtautui saamiensa tietojen ja yhtiön kysymysluetteloon antamien vastausten tarkastelun perusteella varauksellisesti joihinkin seikkoihin hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, ja sen alustava kanta oli, että Puldysaa ei olisi voitu hyväksyä hengitystoiminnan heikkenemisen hoitoon Duchennen lihasdystrofiaa sairastavilla potilailla, joita ei hoideta kortikosteroideilla.

Virasto katsoi, että valmisteen suotuisat vaikutukset keuhkojen toimintaan eivät olleet johdonmukaisia kaikissa tutkimuksissa ja oli epäselvää, pystyittäisiinkö niitä ylläpitämään pitkällä aikavälillä.

Siksi virasto katsoi hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, että Puldysa-valmisteesta saatava hyöty ei ole sen riskejä suurempi.

## **Mistä syistä yhtiö peruutti hakemuksen?**

Yhtiö ilmoitti virastolle hakemuksen peruuttamisesta [kirjeessä](#), jossa se totesi peruuttavansa hakemuksen sen jälkeen, kun meneillään oleva päätutkimus, jonka odotettiin antavan lisää näyttöä Puldysan tehosta Duchennen lihasdystrofian hoidossa, keskeytettiin, koska sen ei katsottu voivan saavuttaa tavoitteita.

## **Vaikuttaako tämä hakemuksen peruuttaminen klinisiin tutkimuksiin tai erityiskäyttöohjelmiin osallistuviin potilaisiin?**

Yhtiö ilmoitti virastolle, että kaikki Puldysan käyttöä Duchennen lihasdystrofian hoidossa koskevat kliiniset tutkimukset ja erityiskäyttöohjelmat lakkautetaan. Kliinisen tutkimuksen lääkärit ottavat yhteyttä potilaisiin viimeisten seurantakäyntien järjestämiseksi.

Jos olet mukana kliinisessä tutkimuksessa tai erityiskäyttöohjelmassa ja tarvitset lisätietoa hoidostasi, ota yhteyttä kliinisen tutkimuksen lääkäriin.