

Lontoo, 22.03.2007
Viite. EMEA/44522/2008

KYSYMYKSIÄ JA VASTAUKSIA ARXXANTIN MARKKINOINTIHAKEMUKSEN PERUMISESTA

INN-nimi: **ruboksistauriini**

Eli Lilly Nederland B.V. ilmoitti 13. maaliskuuta 2007 virallisesti Euroopan lääkeviraston lääkevalmistekomitealle (CHMP), että se haluaa perua ARXXANTia koskevan markkinointilupahakemuksensa diabeettisen retinopatian hoitoon aikuisilla potilailla, joiden taustaretinopatia, eli ei-proliferatiivinen retinopatia, on kohtalainen tai vaikea.

Mitä ARXXANT on?

ARXXANT on lääke, joka sisältää vaikuttavana aineena ruboksistauriinia (32 mg:n tabletteina).

Mihin ARXXANTia oli tarkoitettu käytettäväksi?

ARXXANT oli tarkoitettu käytettäväksi sellaisten aikuisten potilaiden hoitoon, joilla on kohtalainen tai vaikea taustaretinopatia diabeteksen komplikaationa. Retinopatia on vaurio verisuonissa silmän verkkokalvossa, valoherkässä pinnassa silmän takaosassa. Tämä vaurio saa verisuonet vuotamaan nestettä, mistä aiheutuu verkkokalvon turpoaminen. Retinopatia voi lopulta johtaa näön heikentymiseen ja jopa sokeuteen. ”Ei-proliferatiivinen” tarkoittaa, että tauti on varhaisessa vaiheessa, jonka aikana potilas ei välttämättä huomaa muutosta näkökyvyssä.

Miten ARXXANTin odotetaan vaikuttavan?

ARXXANTin vaikuttava aine, ruboksistauriini, estää proteiinikinaasi C-betan (PKC) toiminnan. Kyseessä on luonnollisesti ilmenevä entsyymi, joka säätelee verisuonten toimintaa verkkokalvossa. Diabeteksestä kärsivillä potilailla, glukoosin (sokerin) korkeat tasot veressä voivat saada tämän entsyymin yliaktivoitumaan, mistä aiheutuu verisuonten vaurioituminen. Estämällä PKC-betan toiminnan, ruboksistauriinin odotetaan estävän verisuonten vaurioitumisen ja näön heikkenemisen.

Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevalmistekomitealle hakemuksensa tueksi?

ARXXANTin vaikutuksia testattiin ensin koemalleilla ennen ihmisillä tehtyjä tutkimuksia. Yhtiö esitti tulokset yhdestä päätutkimuksesta, johon osallistui 685 potilasta, joiden taustaretinopatia oli kohtalaisen vakava tai erittäin vakavaan. Tutkimuksessa vertailtiin ARXXANTin ja lumelääkityksen vaikutuksia kolmen vuoden aikana. Tehokkuutta mitattiin pääasiassa selvittämällä niiden potilaiden osuus kummassakin ryhmässä, jotka kärsivät näön heikentymisestä tutkimuksen päättyessä. Tämä arvioitiin niiden kirjainten lukumäärän perusteella, jotka he kykenivät näkemään tavallisella näöntarkastustaululla: vähintään 15 kirjaimen menetystä kuuden kuukauden aikana pidettiin näön heikentymisenä..

Miten pitkällä hakemuksen arviointi oli peruuttamishetkellä?

Hakemusta oli käsitelty xxx päivää, kun yhtiö peruutti sen. Lääkevalmistekomitea oli laatinut yhtiölle kysymysluettelon, mutta yhtiö ei ollut vielä vastannut kysymyksiin. Lääkevalmistekomitea arvioi uuden hakemuksen yleensä 210 päivässä. Se laatii yhtiölle lähetettävän kysymysluettelon (120 päivän kuluessa) alkuvaiheessa toimitettujen asiakirjojen tarkastuksen perusteella. Kun yhtiö on toimittanut vastaukset näihin kysymyksiin, lääkevalmistekomitea tarkastaa ne ja voi esittää niistä yhtiölle vielä täydentäviä kysymyksiä (180 päivän kuluessa) ennen lausunnon antamista. Kun lääkevalmistekomitea on antanut lausuntonsa, Euroopan komissio antaa myyntiluvan yleensä noin kahden kuukauden kuluttua.

Mikä oli lääkevalmistekomitean suositus tuolloin?

Perumishetkellä suorittamansa arvion perusteella lääkevalmistekomitealla oli joitakin epäilyjä ja sen alustava käsitys oli, että ARXXANTia ei olisi voitu hyväksyä diabeettisen retinopatian hoitoon aikuisilla potilailla, joiden taustaretinopatia eli ei-proliferatiivinen retinopatia on kohtalainen tai vakava.

Mitkä olivat lääkevalmistekomitean tärkeimmät huolenaiheet?

Lääkevalmistekomitean mielestä ARXXANTin tehokkuutta ei oltu todistettu riittävästi kliinisessä tutkimuksessa. Komiteaa huolestuttivat myös lääkkeen sivuvaikutukset, erityisesti sydänrytmin häiriöt.

Tämän vuoksi lääkevalmistekomitea katsoi hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, että ARXXANTista ei ollut osoitettu olevan riittävä hyötyä eikä hyöty ollut havaittuja riskejä merkittävämpi.

Mistä syistä yhtiö peruutti hakemuksen?

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

Mitä seurauksia hakemuksen peruuttamisesta on ARXXANTia koskeviin kliinisiin tutkimuksiin osallituville potilaille?

Yhtiö on ilmoittanut lääkevalmistekomitealle, ettei peruuttamisesta ole mitään seurauksia potilaille, jotka osallistuvat ARXXANTIA koskeviin kliinisiin tutkimuksiin..

Jos olet mukana kliinisessä tutkimuksessa ja tarvitset lisätietoja hoidostasi, ota yhteyttä sinua hoitavaan lääkäriin.