

Lontoo, 30.05.2008
Viite. EMEA/304442/2008

**KYSYMYKSIÄ JA VASTAUKSIA MYYNTILUPAHAKEMUKSEN PERUUTTAMISESTA
valmisteelle
ORBEC**

INN-nimi: *beclomethasone dipropionate*

22.05.2008 DOR BIOPHARMA UK Ltd ilmoitti virallisesti Euroopan lääkeviraston lääkevalmistekomitealle (CHMP), että se haluaa perua orBecin markkinointiluvan hakemuksensa mahalaukun ja suoliston käännteishyljintätaudin hoitoon. orBec nimettiin harvinaislääkkeeksi 13.03.2002.

Mitä orBec on?

orBec on lääke, joka sisältää vaikuttavana aineena beklometasonidipropionaattia. Sen oli tarkoitus olla saatavilla kahtena erillisenä tablettina, jotka olisi otettu yhdessä: yksi välittömästi vaikuttava tabletti (välittömästi vaikuttava tarkoittaa, että tabletti on valmistettu vapauttamaan vaikuttava aine välittömästi) ja yksi mahalaukun kestävä tabletti (mahalaukun kestävä tarkoittaa, että tabletti kulkee mahalaukun läpi ehjänä ja hajoaa vasta suolistossa).

Mihin orBec oli tarkoitettu käytettäväksi?

orBec oli tarkoitettu käytettäväksi mahalaukun ja suoliston käännteishyljintätaudin hoitoon. Käännteishyljintätauti voi ilmetä potilaissa, joille on tehty kudoksen tai elimen siirto, kun siirretyn kudoksen tai elimen solut tunnistavat potilaan ”vieraana” ja hyökkäävät kehoa vastaan. Potilaat, joilla on käännteishyljintätauti, kärsivät mahalaukun tai suoliston vahingoittumisesta, mikä aiheuttaa vakavan tulehduksen näissä elimissä.

Miten orBecin on tarkoitus vaikuttaa?

orBecin vaikuttava aine, beklometasonidipropionaatti, on kortikosteroidi, jota on käytetty hengitettävissä, nenä- ja iholääkkeissä 1970-luvulta lähtien. Se toimii vaimentamalla immuunijärjestelmän (kehon luonnollisen vastustuskyvyn) kiinnittymällä erityyppisten immuunisolujen reseptoreihin. orBecissa beklometasonidipropionaattia oli tarkoitus ottaa suullisesti, jotta se voisi vaikuttaa mahalaukussa ja suolistossa. Sen odotettiin sulkevan reseptorit mahalaukussa ja suolistossa vähentäen paikallisesti vieraiden solujen tunnistamiseen liittyviä aineita ja tulehdusprosessia. Tämän odotettiin johtavan mahalaukun ja suolistojen vahingoittumisen vähenemiseen.

Mitä asiakirjoja yhtiö esitti CHMP:lle osoitetun hakemuksensa tueksi?

Hakija esitti beklometasonidipropionaattia koskevia kokeellisia malleja koskevaa tietoa, joka on peräisin tieteellisestä kirjallisuudesta.

orBecin tehokkuutta tutkittiin yhdessä päätutkimuksessa, jossa orBecia verrattiin lumelääkkeeseen 129 potilaalla, jotka kärsivät käännteishyljintätaudista. Tehokkuuden päämittarina oli, kuinka kauan hoidon epäonnistumiseen kului aikaa 50 hoitopäivän aikana.

Kuinka pitkällä hakemuksen arviointi oli, kun se peruttiin?

Hakemuksen tekemisestä oli kulunut 180 päivää, kun yhtiö perui sen.

Kun CHMP oli arvioinut yhtiön vastaukset joukkoon kysymyksiä, eräitä seikkoja oli edelleen avoinna.

CHMP:ltä kestää yleensä 210 päivää uuden hakemuksen arvioimiseen. Alkuperäisten asiakirjojen perusteella CHMP valmistele 120. päivänä joukon kysymyksiä, jotka lähetetään yhtiölle. Kun yhtiö on toimittanut vastaukset kysymyksiin, CHMP arvioi ne ja, ennen kuin antaa mielipiteensä, esittää mahdolliset lisäkysymykset 180. päivänä. CHMP:n lausunnon antamisen jälkeen Euroopan komissiolta menee noin kaksi kuukautta luvan myöntämiseen.

Mikä oli CHMP:n suositus tuolloin?

Saamiensa tietojen ja yhtiön kysymysluetteloon antamien vastausten tarkastelun perusteella lääkevalmistekomitea suhtautui varauksellisesti joihinkin seikkoihin hakemuksen peruuttamisen ajankohtana; sen alustava kanta oli, ettei orBecia voi hyväksyä mahalaukun ja suoliston käänteishyljintätaudin hoitoon.

Mitkä olivat CHMP:n suurimmat huolenaiheet?

CHMP:n huolena oli, ettei yksi ainoa päätutkimus osoittanut orBecin tehokkuutta. orBec ei lumelääkettä merkittävästi paremmin pidentänyt aikaa, jonka jälkeen tauti palasi, 50 päivän hoitajakson aikana. CHMP:llä oli epäilyksiä myös sen suhteen, että useimmat tutkimukseen osallistuneet potilaat tulivat samasta tutkimuskeskuksesta, ja tulokset eivät siksi olleet edustavia koko väestön suhteen. Lisäksi komitea katsoi, ettei ollut riittävästi tietoa osoittamaan, miten orBecin vaikuttava aine toimii mahalaukussa ja suolistossa, kun sitä käytetään mahalaukun ja suoliston käänteishyljintätaudin hoitoon.

Siksi perumisen hetkellä CHMP:n näkemys oli, että ei ollut riittävästi osoitettu orBecilla olevan etuja, jotka olivat merkittävämpiä kuin siihen liittyvät tunnistetut riskit.

Mitkä olivat yhtiön ilmoittamat syyt hakemuksen perumiselle

Kirje, jossa yhtiö ilmoittaa EMEA:lle hakemuksen perumisesta on luettavissa [tästä](#).

Mitä seurauksia hakemuksen peruuttamisesta on orBecia koskeviin kliinisiin tutkimuksiin tai erityiskäyttöohjelmiin osallistuvilla potilaille?

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

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