

Lontoo 25. kesäkuuta 2009
Asiakirjaviite: EMEA/454529/2009
EMEA/H/C/901

Kysymyksiä ja vastauksia myyntilupahakemuksen peruuttamisesta
Lääkevalmiste
Biferonex
beetainterferoni 1a

BioPartners GmbH ilmoitti 28. toukokuuta 2009 virallisesti lääkevalmistekomitealle (CHMP) haluavansa peruuttaa Biferonex-nimisen lääkevalmisteen myyntilupahakemuksen. Käyttöaihe oli aaltomaisesti ilmenevän (relapsoivan ja remittoivan) multipeliskleroosin hoito.

Mitä Biferonex on?

Biferonex on injektiooliuos, jonka vaikuttava aine on beetainterferoni 1a. Valmistetta oli tarkoitus saada esitöytätyissä ruiskuissa.

Mihin Biferonexia oli tarkoitus käyttää?

Biferonexia oli tarkoitus käyttää aikuisten aaltomaisesti ilmenevän (relapsoivan remittoivan) multipeliskleroosin (MS-taudin) hoitoon. Multipeliskleroosi on hermosairaus, jossa tulehdus tuhoaa hermoja ympäröivän suojatupen. Kun sairaus on relapsoiva-remittoiva, vuorottelevat siinä pahenemisvaiheet (relapsit) ja lievempioireiset elpymävaiheet (remissiot). Biferonex oli tarkoitettu potilaille, joilla oli ollut vähintään kaksi kohtauksittaista pahenemista kahden viimeisen vuoden aikana.

Miten Biferonexin odotettiin vaikuttavan?

Biferonexin vaikuttava aine beetainterferoni 1a kuuluu interferonien ryhmään. Interferonit ovat luonnollisia aineita, joita elimistö tuottaa torjumaan esimerkiksi virushyökkäyksiä. Biferonexin odotettiin vaikuttavan muuttamalla immuunijärjestelmän (elimistön luonnollisen puolustusjärjestelmän) toimintaa ja estämällä multipeliskleroosin pahenemisvaiheita.

Beetainterferoni 1a:ta valmistetaan ns. yhdistelmä-DNA-tekniikkaa hyödyntäen. Sitä tuottaa solu, joka siihen lisätyn geenin (DNA) avulla pystyy tuottamaan beetainterferoni 1a:ta. Biferonexissa beetainterferoni 1a vaikuttaa samalla tavalla kuin luontainen beetainterferoni.

Biferonexin vaikuttava aine on sama kuin Euroopan unionin alueella myyntiluvan vuonna 1997 saaneen Avonexin ja myyntiluvan vuonna 1998 saaneen Rebifin. Näistä lääkkeistä poiketen Biferonex on valmistettu siten, että se ei sisällä ihmisen veren albumiini-proteiinia.

Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevalmistekomitealle hakemuksensa tueksi?

Biferonexin vaikutuksia testattiin ensin kokeellisissa malleissa ennen ihmisillä tutkimista.

Yhtiö esitteli tulokset yhdestä päätutkimuksesta, jossa Biferonexia verrattiin lumelääkkeeseen 339 aikuisella, joilla oli aaltoileva multipeliskleroosi. Kukin potilas sai joko Biferonexia tai lumelääkettä kahden vuoden ajan. Tehokkuuden pääasiallinen mitta oli kohtauksittaisten pahenemisten määrän väheneminen.

Yhtiö käytti myös Avonexiin liittyviä tietoja sekä muista beetainterferonia sisältävistä lääkkeistä julkaistusta kirjallisuudesta saatuja tietoja.

Miten pitkällä hakemuksen arviointi oli sen peruuttamishetkellä?

Arviointi oli päättynyt ja lääkevalmistekomitea oli antanut kielteisen lausunnon. Yritys oli pyytänyt kielteisen lausunnon uudelleen käsittelyä, joka ei ollut vielä alkanut, kun yritys peruutti hakemuksensa.

Mikä oli lääkevalmistekomitean suositus tuolloin?

Peruuttamishetkellä lääkevalmistekomitea oli antanut kielteisen lausunnon, jossa suosituksena oli aaltoilevan multippeliskleroosin hoitoon tarkoitetun Biferonexin myyntiluvan epääminen.

Mitkä olivat lääkevalmistekomitean tärkeimmät huolenaiheet?

Lääkevalmistekomitea pani merkille, että Biferonexin ja muiden markkinoilla olevien beetainterferonia sisältävien lääkkeiden vaikuttavassa aineessa oli eroja. Sen vuoksi lääkevalmistekomitean johtopäätöksenä oli, ettei ollut perusteltua käyttää julkaistuja tutkimuksia näistä beetainterferonia sisältävistä lääkkeistä tukemaan Biferonexin käyttöä ja että itse Biferonexista tarvitaan tutkimuksia.

Lääkevalmistekomitean kantana oli myös, että Biferonexin pivotaalitutkimuksen tulokset eivät osoittaneet riittävästi, että lääke oli tehokas. Lääkevalmistekomitealle esitettyjen tietojen perusteella ei ollut selvää, johtuiko tämä tavasta, jolla tutkimus oli suunniteltu vai tavasta, jolla tulokset analysoitiin vai lääkkeestä itsessään.

Siten lääkevalmistekomitean kantana peruuttamishetkellä oli, että Biferonexin hyöty aaltoilevan multippeliskleroosin hoidossa ei ollut sen riskejä suurempi.

Mitkä perusteet yritys esitti hakemuksen peruuttamiselle?

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

Mitä seurauksia peruuttamisesta on potilaille, jotka ovat olleet Biferonexia koskevilla kliinisissä tutkimuksissa tai erityiskäyttöohjelmissa?

Yritys ilmoitti lääkevalmistekomitealle, ettei Biferonexia koskevia kliinisiä kokeita tai erityiskäyttöohjelmia ole käynnissä.