

23. kesäkuuta 2017
EMA/CHMP/380586/2017
EMA/H/C/0004330

Kysymyksiä ja vastauksia

Elmisol-lääkevalmistetta (levamisoli) koskevan myyntilupahakemuksen peruuttaminen

ACE Pharmaceuticals BV ilmoitti 29. toukokuuta 2017 virallisesti lääkevalmistekomitealle (CHMP) haluavansa peruuttaa nefroottisen oireyhtymän hoitoon tarkoitettua Elmisol-lääkevalmistetta koskevan myyntilupahakemuksensa.

Mikä Elmisol on?

Elmisol on lääkevalmiste, jonka vaikuttava aine on levamisolihydrokloridi. Sitä oli määrä olla saatavana tabletteina (5, 10, 25 ja 50 mg).

Mihin Elmisol-valmistetta oli tarkoitus käyttää?

Elmisolia oli tarkoitus käyttää vähintään 2-vuotiaiden lasten nefroottisen oireyhtymän hoitoon. Nefroottinen oireyhtymä on munuaissairaus, jolle on ominaista virtsan suuri proteiinipitoisuus ja joka johtaa nesteen kertymiseen kehoon sekä turvotukseen (edeema), korkeaan verenpaineeseen ja painonnousuun. Elmisolia oli tarkoitus käyttää potilaille, joiden oireet uusiutuvat kortikosteroideilla aluksi saadun hoitovasteen jälkeen (steroideille herkkä nefroottinen oireyhtymä).

Elmisol nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisissa sairauksissa käytettävä lääke) 28. lokakuuta 2005 nefroottisen oireyhtymän hoitoa varten. Lisätietoja harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on [tässä](#).

Miten Elmisol vaikuttaa?

Levamisolia on käytetty vuosia erilaisten sairauksien, kuten matoinfektioiden ja syöpien, hoitoon. Sen vaikutusmekanismia nefroottisessa oireyhtymässä ei täysin ymmärretä, mutta sen tiedetään vaikuttavan immuunijärjestelmään (kehon luonnolliseen puolustusmekanismiin). Nefroottista oireyhtymää sairastavien potilaiden immuunijärjestelmän uskotaan erehdyksessä hyökkäävän munuaista vastaan, mikä aiheuttaa proteiinivuodon munuaisista virtsaan.

Immuunijärjestelmän heikentäminen kortikosteroideilla voi saada taudin hallintaan, mutta näillä lääkkeillä on merkittäviä sivuvaikutuksia ja ne vaikuttavat nuorten potilaiden kasvuun. Levamisolin uskotaan muuttavan immuunijärjestelmän toimintaa, mikä auttaa hillitsemään sairautta ja siten vähentämään potilaan tarvitsemien kortikosteroidien määrää.

Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?

Yhtiö esitti tulokset tutkimuksista, jotka koskivat lääkkeen laatua, turvallisuutta ja tehoa, mukaan lukien kirjallisuudesta saadut tiedot. Päättökäytännössä levamisolia verrattiin lumehoitoon sellaisten lasten hoidossa, joiden nefroottinen oireyhtymä oli pysynyt hallinnassa kortikosteroideilla. Tutkimuksessa tarkasteltiin lääkkeen kykyä estää sairauden uusiutuminen.

Miten pitkällä hakemuksen arviointi oli, kun se peruutettiin?

Hakemus peruutettiin sen jälkeen, kun lääkevalmistekomitea oli arvioinut yhtiön alkuvaiheessa toimittamat asiakirjat ja laatinut luettelon kysymyksistä. Yhtiö ei ollut vielä vastannut näihin kysymyksiin hakemuksen peruuttamisen ajankohtana.

Mikä oli lääkevalmistekomitean suositus tuolloin?

Lääkevalmistekomitea suhtautui saamiensa tietojen perusteella varauksellisesti joihinkin seikkoihin hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, ja sen alustava kanta oli, että Elmisolia ei olisi voitu hyväksyä nefroottisen oireyhtymän hoitoon. Komitea oli huolissaan siitä, miten päätutkimus oli joiltakin osin tehty ja noudattiko se näiltä osin hyvän kliinisen tutkimustavan (GCP) vaatimuksia. Muita huolenaiheita olivat annostusvirheiden mahdollisuus, sillä tablettien eri vahvuudet saattavat sekoittaa, tablettien vaikuttavan aineen stabiiliuden tutkimustapa ja riittämättömät tiedot lääkkeen vaikutuksista, jakautumisesta elimistössä ja yhteisvaikutusriskeistä muiden lääkkeiden kanssa.

Siksi lääkevalmistekomitea katsoi hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, ettei Elmisolista saatava hyöty ole sen riskejä suurempi ehdotetussa käyttöaiheessa.

Mistä syistä yhtiö peruutti hakemuksen?

Kirjeessään, jossa yhtiö ilmoittaa virastolle hakemuksen peruuttamisesta, se toteaa, että se peruuttaa hakemuksensa, koska päätutkimukseen kohdistui huolenaiheita, jotka estäisivät sen käytön hakemuksen tukena.

Peruuttamista koskeva kirje on [tässä](#).

Mitä seurauksia tämän hakemuksen peruuttamisesta on kliinisiin tutkimuksiin osallistuvilla potilaille?

Peruuttamisesta ei ole mitään seurauksia potilaille, jotka osallistuvat Elmisolia koskeviin kliinisiin tutkimuksiin.

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