

24. maaliskuuta 2017
EMA/192276/2017
EMA/H/C/004193

Kysymyksiä ja vastauksia

Enpaxiq-lääkevalmistetta (pakritinibi) koskevan myyntilupahakemuksen peruuttaminen

CTI BioPharma ilmoitti 20. helmikuuta 2017 virallisesti lääkevalmistekomitealle (CHMP) haluavansa peruuttaa Enpaxiq-lääkevalmistetta koskevan myyntilupahakemuksensa. Enpaxiq oli tarkoitettu niiden potilaiden hoitoon, joilla on laajentunut perna tai muita myelofibroosin oireita.

Mitä Enpaxiq on?

Enpaxiq on lääke, jonka vaikuttava aine on pakritinibi. Sen oli määrä olla saatavana suun kautta otettavina kapseleina.

Mihin Enpaxiq oli tarkoitus käyttää?

Enpaxiqia oli tarkoitus käyttää niiden potilaiden hoitoon, joilla on laajentunut perna tai muita myelofibroosin oireita. Myelofibroosissa verisoluja tuottavaan luuytimeen muodostuu arpikudosta.

Enpaxiq määritettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisissa sairauksissa käytettävä lääke) 25. elokuuta 2010 myelofibroosin eri tyyppien hoitoa varten. Lisätietoja harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on [tässä](#).

Miten Enpaxiq vaikuttaa?

Enpaxiqin vaikuttava aine, pakritinibi, estää JAK2:n ja FLT3:n toiminnan. Nämä kaksi proteiinia osallistuvat verisolujen tuotantoon ja kasvamiseen. Myelofibroosissa potilailla on liikaa näitä proteiineja. Sen vuoksi heidän elimistönsä tuottaa epäkypsiä verisoluja, joista jotkin kulkeutuvat elimiin, esimerkiksi pernaan, ja tällöin nämä elimet laajenevat. Näitä proteiineja estämällä Enpaxiqin oletetaan hidastavan epäkypsien verisolujen tuotantoa ja auttavan näin vähentämään sairauden oireita.

Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?

Yhtiö esitti tietoja päätutkimuksesta, johon osallistui 327 myelofibroosia sairastavaa potilasta. Tutkimuksessa tarkasteltiin niiden potilaiden määrää, joiden pernan koko pieneni vähintään 35 prosenttia 24 viikon pituisen hoidon jälkeen. Tutkimuksessa Enpaxiqia verrattiin parhaaseen saatavilla olevaan hoitoon, johon sisältyi sellaisia lääkkeitä, jotka eivät vaikuta JAK-proteiineihin (esimerkiksi hydroksiurea), ja tukihoitoa.

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, kun hakemus peruutettiin.

Mikä oli lääkevalmistekomitean suositus tuolloin?

Hakemuksen peruuttamishetkellä lääkevalmistekomitean alustava kanta oli, ettei Enpaxiqia olisi voitu hyväksyä myelofibroosin hoitoon.

Komitealla oli lukuisia huolenaiheita: pernan koon pieneneminen, joka oli tehon päämittana tutkimuksessa, vaikutti olevan vähäisempää Enpaxiqilla kuin toisella samaan luokkaan kuuluvalla lääkkeellä. Lisäksi oirepisteissä ei tapahtunut paranemista, ja pieni verihutiapitoisuus (joka voi aiheuttaa verenvuotoa) oli yleisempää Enpaxiqilla hoidetuilla potilailla. Enpaxiqia ottaneilla potilailla ilmeni myös enemmän kuolemantapauksia kuin parasta saatavilla olevaa hoitoa saaneilla, ja kuolemantapauksiin sisältyi verenvuodosta ja sydämeen kohdistuneista vaikutuksista johtuvia kuolemia.

Lisäksi lääkevalmistekomitea totesi, että tarvitaan lisää tietoa Enpaxiqin valmistuksessa käytetyistä lähtöaineista ja siitä, miten se vaikuttaa tiettyihin elimistön proteiineihin.

Näiden huolenaiheiden vuoksi komitea katsoi, ettei Enpaxiqin hyötyjen ollut osoitettu ylittävän sen riskejä.

Mistä syistä yhtiö peruutti hakemuksen?

Virastolle toimittamassaan kirjeessä yhtiö ilmoitti peruuttavansa hakemuksen, koska nykyisessä hakemusmenettelyssä ei ollut tarpeeksi aikaa tuottaa uutta tietoa toisesta Enpaxiqilla tehtävästä päätutkimuksesta. Yhtiö totesi, että se aikoo lisätä tästä tutkimuksesta saatavat uudet tiedot sen nykyiseen aineistoon, ennen kuin se ottaa yhteyttä Euroopan lääkevirastoon uuden hakemuksen osalta. Peruuttamista koskeva kirje on [tässä](#).

Mitä seurauksia tämän hakemuksen peruuttamisesta on kliinisiin tutkimuksiin tai erityiskäyttöohjelmiin osallistuville potilaille?

Yhtiö ilmoitti lääkevalmistekomitealle, että peruuttamisesta ei ole mitään seurauksia potilaille, jotka osallistuvat Enpaxiqia koskeviin kliinisiin tutkimuksiin tai erityiskäyttöohjelmaan.

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