

29. kesäkuuta 2018
EMA/431413/2018
EMA/H/C/004736

Graspaa (L-asparaginaasi) koskevan myyntilupahakemuksen peruuttaminen

Erytech Pharma S.A. ilmoitti 22. kesäkuuta 2018 lääkevalmistekomitealle (CHMP) haluavansa peruuttaa akuutin lymfoblastileukemian (ALL) hoitoon tarkoitettua Graspaa-lääkevalmistetta koskevan myyntilupahakemuksensa.

Mitä Graspaa on?

Graspaa on syöpälääke, jonka vaikuttava aine on punasoluihin kapseloitu L-asparaginaasi. Asparaginaasia on käytetty syövän hoidossa jo vuosia, ja sillä on myyntilupa EU:ssa useilla eri kauppanimillä. Graspaa oli tarkoitettu antaa infuusiona (tiputuksena) laskimoon.

Mihin Graspaa-valmistetta oli tarkoitus käyttää?

Graspaa oli tarkoitettu käyttää aikuisille ja lapsille yhdessä muiden syöpälääkkeiden kanssa sellaisen ALL:n hoitoon, johon ei liittynyt mitään erityistä geenimuutosta (eli "Philadelphia-kromosominegatiivinen" syöpä). Sitä oli tarkoitus käyttää, jos ALL ei ollut parantunut tavanomaisella hoidolla tai jos se oli uusiutunut tällaisen hoidon jälkeen.

Graspaa nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisissa sairauksissa käytettävä lääke) 27. lokakuuta 2006 ALL:n hoitoa varten. Lisätietoja harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on [täällä](#).

Miten Graspaa vaikuttaa?

Asparagiini on elimistössä terveiden solujen tuottama aminohappo. Lymfoblastileukemiasolut eivät kuitenkaan pysty tuottamaan tätä aminohappoa, joten ne ottavat sen verestä, sillä ne tarvitsevat sitä nopeaan kasvuunsa. L-asparaginaasi-entsyymi tuhoaa veressä olevaa asparagiinia, jolloin leukemiasolut jäävät ilman tätä aminohappoa, ja näin ollen aiheuttaa niiden kuoleman.

Graspaa-valmisteen L-asparaginaasi on kapseloitu punasoluihin, koska tämän odotettiin mahdollistavan entsyymin toiminnan ja samalla suojaavan sitä veressä hajoamiselta ja vasta-aineilta, jotka voivat kiinnittyä siihen ja estää sen tehon.

Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?

Yhtiö esitti tiedot päätutkimuksesta, jossa Graspaa verrattiin asparaginaasiin (jota ei ole kapseloitu verisoluihin). Tutkimukseen osallistui 80 iältään 1–55-vuotiaasta potilasta, joilla oli Philadelphia-kromosominegatiivinen ALL ja joiden sairaus ei ollut parantunut muulla hoidolla tai se oli uusiutunut.

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?

Lääkevalmistekomitea suhtautui saamiensa tietojen perusteella varauksellisesti joihinkin seikkoihin hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, ja sen alustava kanta oli, että Graspaa ei olisi voitu hyväksyä ALL:n hoitoon. Lääkevalmistekomitea oli huolissaan siitä, että lääkevalmiste sisältää erityyppistä asparaginaasia kuin mitä käytettiin kliinisissä tutkimuksissa ja että toimitetut tiedot eivät olleet riittäviä osoittamaan, miten lääke käyttäytyy elimistössä ja miten hyvin se tehoaa verrattuna muihin asparaginaasilääkkeisiin. Tiedot olivat myöskin liian vähäisiä osoittamaan, kuinka paljon vasta-aineet heikentävät Graspaa tehoa tai miten turvallista se on lapsilla tai toistuvien hoitojen jälkeen.

Siksi lääkevalmistekomitea katsoi hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, että Graspasta saatava hyöty ei ole sen riskejä suurempi, koska sen tehoa ei voitu osoittaa.

Mistä syistä yhtiö peruutti hakemuksen?

Kirjeessään, jossa yhtiö ilmoittaa virastolle hakemuksen peruuttamisesta, se toteaa, että toimitetut tiedot eivät olleet riittäviä johtopäätöksen tekemiseen Graspaa hyödyistä ja riskeistä.

Peruuttamista koskeva kirje on [täällä](#).

Mitä seurauksia tämän hakemuksen peruuttamisesta on kliinisiin tutkimuksiin osallistuvilla potilaille?

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

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