



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

27. maaliskuuta 2015
EMA/286540/2015
EMA/H/C/3800

Kysymyksiä ja vastauksia

Lääkevalmisteen Ketoconazole AID-SCFM (ketokonatsoli) myyntilupahakemuksen peruuttaminen

Agenzia Industrie Difesa - Stabilimento Chimico Farmaceutico Militare ilmoitti 23. helmikuuta 2015 virallisesti lääkevalmistekomitealle (CHMP) haluavansa peruuttaa Cushingin oireyhtymän hoitoon tarkoitettua Ketoconazole AID-SCFM -lääkevalmistetta koskevan myyntilupahakemuksensa.

Mitä Ketoconazole AID-SCFM on?

Ketoconazole AID-SCFM on lääke, jonka vaikuttava aine on ketokonatsoli. Sitä oli määrä olla saatavana 200 mg:n kapsleina.

Mihin valmistetta Ketoconazole AID-SCFM oli tarkoitus käyttää?

Ketoconazole AID-SCFM:llä oli tarkoitus hoitaa Cushingin oireyhtymää sairastavia aikuisia, joilla kirurginen hoito ei ole mahdollista tai se on epäonnistunut. Cushingin oireyhtymä on sairaus, jossa munuaisten yläpuolella sijaitsevat lisämunuaiset tuottavat liikaa kortisoli-nimistä hormonia.

Ketoconazole AID-SCFM määriteltiin Cushingin oireyhtymän hoitoon tarkoitetuksi harvinaislääkkeeksi (harvinaisen sairauden hoitoon tarkoitettu lääke) 9. elokuuta 2012.

Miten valmisteen Ketoconazole AID-SCFM odotettiin vaikuttavan?

Ketoconazole AID-SCFM:n vaikuttava aine, ketokonatsoli, estää sen entsyymiryhmän toiminnan, joka osallistuu lisämunuaisissa kortisolin tuotantoon. Näitä entsyymejä ovat esimerkiksi 17-alfa-hydroksylaasi ja 11b-hydroksylaasi. Kortisolin tuotannon estäminen auttaa pienentämään elimistön kortisolipitoisuuksia, jolloin sairauden oireet lievittyvät. Ketokonatsoli voi estää myös muiden sellaisten lisämunuaisten tuottamien hormonien tuotannon, joiden pitoisuus on usein koholla Cushingin oireyhtymässä.

EU:ssa on hiljattain hyväksytty toinen ketokonatsolia sisältävä lääkevalmiste (Ketoconazole HRA) Cushingin oireyhtymän hoitoon.



Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?

Ketokonatsoli on hyvin tunnettu aine, jonka käyttö Cushingin oireyhtymän hoidossa on vakiintunutta, joten hakija esitti julkaistusta kirjallisuudesta peräisin olevia tietoja Ketoconazole AID-SCFM:ää koskevan hakemuksensa tueksi.

Miten pitkällä hakemuksen arviointi oli sen peruuttamishetkellä?

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 alkuperäisen tarkastelun perusteella varauksellisesti joihinkin seikkoihin hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, ja sen alustava kanta oli, että Ketoconazole AID-SCFM:ää ei olisi voitu hyväksyä Cushingin oireyhtymän hoitoon. Lääkevalmistekomitealla oli lääkevalmisteen laatuun (erityisesti valittuihin lähtöaineisiin ja valmisteen mahdollisiin epäpuhtauksiin) liittyviä huolia. Lisäksi lääkevalmistekomitea suhtautui varauksellisesti valmisteen tehon ja turvallisuuden tueksi esitettyyn aineistoon.

Siksi lääkevalmistekomitea katsoi hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, että Ketoconazole AID-SCFM:stä saatava hyöty ei ole sen riskejä suurempi.

Mistä syistä yhtiö peruutti hakemuksen?

Kirjeessä, jossa se ilmoitti lääkevirastolle hakemuksen peruuttamisesta, yhtiö selitti peruuttavansa hakemuksen siksi, että se tarvitsi lisää aikaa toimittaakseen vastaukset lääkevalmistekomitean kysymyksiin. Yhtiö vetosi myös kaupallisiin syihin, koska EU:ssa oli hiljattain hyväksytty toinen ketokonatsolia sisältävä lääkevalmiste Cushingin oireyhtymän hoitoon.

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

Tiivistelmä harvinaislääkekomitean Ketoconazole AID-SCFM:ää koskevasta lausunnosta on viraston verkkosivustolla osoitteessa: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).