



Lontoo 22.10.2009
Asiakirjaviite EMEA/745176/2009
EMEA/H/C/994

Kysymyksiä ja vastauksia myyntilupahakemuksen peruuttamisesta
Lääkevalmiste:
Opaxio
paklitakselipoliglumeksi

CTI Life Sciences Ltd ilmoitti 21. syyskuuta 2009 virallisesti lääkevalmistekomitealle (CHMP) haluavansa peruuttaa Opaxio-lääkevalmistetta koskevan myyntilupahakemuksensa. Opaxio oli tarkoitettu ensisijaiseksi hoidoksi edennyttä ei-pienisoluista keuhkosityöpää sairastaville potilaille, joiden ECOG-suorituskykyluokka on 2.

Mitä Opaxio on?

Opaxio on kuiva-ainetta, josta valmistetaan liuos infuusiota (suonensisäistä tiputusta) varten. Sen vaikuttava aine on paklitakselipoliglumeksi.

Mihin Opaxiota oli tarkoitus käyttää?

Opaxiota oli määrä käyttää edennyttä ei-pienisoluista keuhkosityöpää sairastavilla potilailla, joiden ECOG-suorituskykyluokka on 2. ECOG-suorituskykyluokan avulla määritetään, kuinka sairas syöpäpotilas on. Suorituskykyluokka 2 tarkoittaa, että potilas pystyy huolehtimaan itsestään ilman apua mutta on kuitenkin liian sairas voidakseen tehdä töitä.

Miten Opaxion odotettiin vaikuttavan?

Opaxion vaikuttavan aineen, paklitakselipoliglumeksin, odotetaan muuttuvan syöpäsoluissa paklitakseliksi. Paklitakseli estää syöpäsolujen kyvyn tuhota sisäisen tukirankansa, sillä tukirangan tuhoamalla solut pääsevät jakaantumaan ja monistumaan. Kun tukiranka pysyy paikallaan, solut eivät pysty jakaantumaan ja kuolevat lopulta.

Paklitakseli on syöpälääke, jota on ollut saatavana Euroopan unionissa vuodesta 1993 alkaen. Opaxio-lääkevalmistuksessa paklitakseli on kiinnittyneenä poliglumeksiin, jonka ansiosta se liukenee paremmin.

Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevalmistekomitealle hakemuksensa tueksi?

Opaxion vaikutuksia testattiin ensin kokeellisilla malleilla ennen ihmisillä tutkimista. Lääkeyhtiö toimitti tulokset yhdestä päätutkimuksesta. Se käsitti 477 edennyttä ei-pienisoluista keuhkosityöpää sairastavaa potilasta, joiden ECOG-suorituskykyluokka oli 2. Tässä tutkimuksessa Opaxiota verrattiin gemsitabiiniin tai vinorelbiiniin (kahteen muuhun syöpälääkkeeseen). Pääasiallinen tehon mittari oli potilaiden elossapysymisen aika.

Miten pitkällä hakemuksen arviointi oli peruuttamishetkellä?

Hakemusta oli käsitelty 180 päivää, kun yhtiö peruutti sen. Lääkevalmistekomitea oli arvioinut yhtiön kysymysluetteloon antamat vastaukset, mutta joitakin seikkoja oli vielä selvittämättä.

Lääkevalmistekomitea arvioi uuden myyntilupahakemuksen yleensä 210 päivässä. Se laatii yhtiölle lähetettävän kysymysluettelon (120 päivän kuluessa) alkuvaiheessa toimitettujen asiakirjojen tarkastuksen perusteella. Kun yhtiö on toimittanut vastaukset näihin kysymyksiin, lääkevalmistekomitea tarkastaa ne ja voi esittää niistä yhtiölle vielä täydentäviä kysymyksiä (180 päivän kuluessa) ennen lausunnon antamista. Kun lääkevalmistekomitea on antanut lausuntonsa, Euroopan komissio tekee sen perusteella päätöksen asiasta yleensä noin kahden kuukauden kuluessa.

Mikä oli lääkevalmistekomitean suositus tuolloin?

Saamiensa tietojen ja yhtiön kysymysluetteloon antamien vastausten tarkastelun perusteella lääkevalmistekomitea suhtautui joihinkin seikkoihin varauksellisesti hakemuksen peruuttamisen ajankohtana. Lääkevalmistekomitean alustava kanta oli, ettei Opaxiota voi hyväksyä ensisijaiseksi hoidoksi edennyttä ei-pienisoluisia keuhkosityöpää sairastaville potilaille, joiden ECOG-suorituskykyluokka oli 2.

Mitkä olivat lääkevalmistekomitean tärkeimmät huolenaiheet?

Lääkevalmistekomitea katsoi, ettei päätutkimus osoittanut Opaxion olevan tehokas edennyttä ei-pienisoluisia keuhkosityöpää sairastavilla potilailla, joiden ECOG-suorituskykyluokka oli 2. Lääkevalmistekomitea ei hyväksynyt yhtiön näkemystä, jonka mukaan tutkimus osoitti Opaxion olevan vähintään yhtä hyvä kuin verrokkilääkkeet, koska ei ollut selvää, että verrokkilääkkeet olisivat olleet tehokkaita päätutkimukseen osallistuneiden potilastyypin osalta. Lisäksi tutkimukset eivät osoittaneet Opaxion olevan tehokkaampi kuin kaksi verrokkilääkettä. Lääkevalmistekomitea piti myös lääkevalmisteen haittavaikutuksia, etenkin neuropatiaa (hermovaurioita) sekä selittämättömiä kuolemantapauksia huolestuttavina. Myös lääkevalmisteen sisältämiä epäpuhtauksia ja paklitakselin vapautumisen ja jakaantumisen tapaa elimistössä Opaxiota annettaessa pidettiin huolestuttavina.

Mistä syistä yhtiö peruutti hakemuksen?

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

Mitä seurauksia hakemuksen peruuttamisesta on Opaxiota koskeviin kliinisiin tutkimuksiin tai erityiskäyttöohjelmiin osallistuvilla potilaille?

Yhtiö ilmoitti lääkevalmistekomitealle, että hakemuksen peruuttamisella ei ole vaikutusta potilaisiin Euroopan unionissa (EU), koska EU:ssa ei ole meneillään kliinisiä tutkimuksia tai erityiskäyttöohjelmia.

Yhtiö kuitenkin jatkaa Opaxion tutkimista Euroopan unionin ulkopuolella useiden syöpien osalta, mukaan luettuina munasarjasyöpä, ruokatorvisyöpä sekä ei-pienisoluisen keuhkosityöpä.