

27. toukokuuta 2016
EMA/358774/2016
EMA/H/C/003978

Kysymyksiä ja vastauksia

Lääkevalmisteen Opsiria (sirolimuusi) myyntilupahakemuksen peruuttaminen

Santen Oy ilmoitti 20. toukokuuta 2016 virallisesti lääkevalmistekomitealle (CHMP) haluavansa peruuttaa ei-infektiivisen uveitiin hoitoon tarkoitettua Opsiria-lääkevalmistettä koskevan myyntilupahakemuksensa.

Mitä Opsiria on?

Opsiria on lääke, jonka vaikuttavana aineena on sirolimuusi. Sitä oli tarkoitus olla saatavana silmään injektoitavana liuoksena.

Mihin Opsiriaa oli tarkoitus käyttää?

Opsiriaa oli tarkoitus käyttää ei-infektiivisen uveitiin (suonikalvoston eli silmämunan seinämän keskimmäisen kerroksen tulehduksen) hoitoon aikuisilla. Tulehdus voi aiheuttaa epämiellyttävää tunnetta, kipua ja näön hämärtymistä, ja se voi johtaa täydelliseen tai osittaiseen sokeutumiseen.

Opsiria määriteltiin kroonisen ei-infektiivisen uveitiin hoitoon tarkoitetuksi harvinaislääkkeeksi (harvinaisen sairauden hoitoon tarkoitettu lääke) 30. elokuuta 2011. Lisätietoja löytyy osoitteesta ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Miten Opsirian odotettiin vaikuttavan?

Opsirian vaikuttavan aineen sirolimuusin odotetaan vaikuttavan estämällä nisäkkään rapamysiinin kohde -nimisen entsyymin (mTOR) toiminta. Koska mTOR osallistuu T-lymfosyyttien (tulehduksiin vaikuttavat valkosolut) aktivoitumiseen ja lisääntymiseen, sirolimuusin odotetaan vähentävän tulehdusta kroonisessa ei-infektiivisessä uveitissa.

Sirolimuusia on käytetty useita vuosia elinsiirteiden hylkimisen estoon.

Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?

Opsiraa tutkittiin yhdessä päätutkimuksessa, johon osallistui 347 ei-infektiivistä uveittia sairastavaa potilasta. Tässä tutkimuksessa Opsiraa ei verrattu mihinkään muuhun hoitoon. Tehon pääasiallinen mitta oli niiden potilaiden määrä, joilla tulehdus parani viiden kuukauden hoidon jälkeen.

Miten pitkällä hakemuksen arviointi oli sen peruuttamishetkellä?

Hakemus peruutettiin sen jälkeen, kun lääkevalmistekomitea oli arvioinut yhtiön toimittamat asiakirjat ja laatinut luettelon kysymyksistä. Kun lääkevalmistekomitea oli arvioinut yhtiön viimeisimpiin kysymyksiin antamat vastaukset, joitakin seikkoja oli vielä selvittämättä.

Mikä oli lääkevalmistekomitean suositus tuolloin?

Lääkevalmistekomitea suhtautui saamiensa tietojen ja yhtiön kysymysluetteloon antamien vastausten tarkastelun perusteella varauksellisesti joihinkin seikkoihin hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, ja sen alustava kanta oli, että Opsiraa ei olisi voitu hyväksyä ei-infektiivisen uveitin hoitoon. Kliinisestä tutkimuksesta saadut tiedot eivät riittäneet osoittamaan Opsirian hyötyä, etenkin eurooppalaisille potilaille. Lisäksi komitea kyseenalaisti lääkevalmisteen sterilointiin ehdotetun menetelmän.

Siksi lääkevalmistekomitea katsoi hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, että Opsiriasta saatava hyöty ei ole sen riskejä suurempi.

Mistä syistä yhtiö peruutti hakemuksen?

Kirjeessä, jossa yhtiö ilmoittaa lääkevirastolle hakemuksen peruuttamisesta, se myöntää tarpeen toimittaa Opsirian hyödyistä lisätietoja, jotka se saa meneillään olevasta kliinisestä tutkimuksesta.

Yhtiön kirje hakemuksen peruuttamisesta on luettavissa [tässä](#).

Mitä seurauksia tämän hakemuksen peruuttamisesta on kliinisiin tutkimuksiin osallistuville potilaille?

Yritys ilmoitti lääkevalmistekomitealle, ettei peruuttamisesta ole mitään seurauksia potilaille, jotka osallistuvat Opsiraa koskeviin kliinisiin tutkimuksiin.

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