



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

20. tammikuuta 2011
EMA/13310/2011
EMA/H/C/001244

Kysymyksiä ja vastauksia

Tekinex-valmisteen (omasetaksiinimepesuksinaatti) myyntilupahakemuksen peruuttaminen

ChemGenex Europe SAS ilmoitti 11. tammikuuta 2011 lääkevalmistekomitealle virallisesti peruuttavansa Tekinex-nimistä lääkevalmistetta koskevan myyntilupahakemuksensa. Tekinexillä oli määrä hoitaa kroonista myelooista leukemiaa sairastavia potilaita, joiden pahanlaatuisissa soluissa on Philadelphia-kromosomi ja bcr-abl-kinaasin T3151-mutaatio ja joiden aiempi hoito imatinibilla ei ollut onnistunut.

Mitä Tekinex on?

Tekinex on lääke, jonka vaikuttava aine on omasetaksiinimepesuksinaatti. Tarkoitus oli saattaa lääke markkinoille jauheena, josta valmistettaisiin injektionestettä.

Mihin Tekinexiä oli tarkoitus käyttää?

Tekinexillä oli tarkoitus hoitaa aikuisia potilaita, jotka sairastavat Philadelphia-kromosomiposiitivista (Ph+) kroonista myelooista leukemiaa (granulosyytti-nimisten valkoisten verisolujen syöpä). Philadelphia-kromosomiposiitivisuus tarkoittaa sitä, että potilaan geenit ovat järjestäytyneet uudelleen siten, että niistä muodostuu kromosomi, jota kutsutaan nimellä Philadelphia. Se puolestaan tuottaa bcr-abl-kinaasi-nimistä entsyymiä, joka aiheuttaa leukemian kehittymisen.

Lääkevalmisteella oli tarkoitus hoitaa potilaita, joiden aiempi hoito imatinibilla (eräs toinen syöpälääke) oli epäonnistunut kenties bcr-abl-kinaasin geenissä olleen T3151-nimisen mutaation vuoksi.

Kroonista myelooista leukemiaa sairastavia henkilöitä on vähän, joten sairaus on harvinainen. Tekinex määriteltiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisen sairauden hoitoon tarkoitettu lääke) 2. syyskuuta 2004.



Miten Tekinexin odotettiin vaikuttavan?

Tekinexin vaikuttava aine, omasetaksiini, on proteiinisynteesin estäjä. Sitä saadaan harringtoniinistä, joka on tietyistä havupuista uutettava aine. Sen vaikutustapaa ei täysin tunneta, mutta sen ajatellaan häiritsevän bcr-abl-tyrosiinikinaasin tuotantoa.

Muut tyrosiinikinaasin estäjinä tunnetut lääkkeet, mukaan lukien imatinibi, vaikuttavat kroonisen myelooisen leukemian hoidossa kiinnittymällä suoraan bcr-abl-tyrosiinikinaasin pintaan. T3151-mutaatio muuttaa entsyymien tiettyjä ominaisuuksia, jolloin näiden lääkeaineiden on vaikeampi kiinnittyä siihen. Koska omasetaksiini ei toimi tällä tavalla, T3151-mutaatio ei vaikuta sen toimintaan. Sen vuoksi Tekinexin odotettiin toimivan Ph⁺-potilailla, joilla on lisäksi T3151-mutaatio.

Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?

Tekinexin vaikutuksia testattiin ensin kokeellisilla malleilla ennen ihmisillä tutkimista. Lääkeyhtiö toimitti tulokset päätutkimuksesta, johon osallistui 66 Philadelphia-positiivista kroonista myelooista leukemiaa sairastavaa potilasta, joilla oli lisäksi T3151-mutaatio ja joiden aiempi hoito imatinibilla ei ollut onnistunut. Tekinexiä ei verrattu suoraan muihin hoitoihin. Tutkimuksessa tarkasteltiin potilaiden hoitovastetta verikokeiden tulosten perusteella sen määrittämiseksi, miten aktiivinen syöpä oli.

Miten pitkällä hakemuksen arviointi oli peruuttamishetkellä?

Hakemusta oli käsitelty 120 päivää, kun yhtiö peruutti sen. Siinä vaiheessa 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?

Peruuttamishetkellä lääkevalmistekomitea suhtautui tietojen arvioinnin perusteella varauksellisesti joihinkin seikkoihin, ja sen alustava kanta oli, ettei Tekinexiä voida hyväksyä.

Lääkevalmistekomitea katsoi, että lääkevalmisteen hyödyistä ei ollut varmaa näyttöä. Potilaiden seuranta hoidon jälkeen oli niin ikään puutteellista. Komitean mielestä lääke ei ollut riittävän turvallinen annettavaksi potilaille itse pistettäväksi, kuten lääkeyhtiö oli tarkoittanut.

Lääkevalmistekomitea suhtautui varauksellisesti myös tutkimuksessa käytettyihin annoksiin ja perusteisiin, joilla lääkevalmisteen tehokkuutta mitattiin. Tutkimuspaikkojen tarkastuksen jälkeen komitea totesi, että hakemuksessa on sellaisia epä johdonmukaisuuksia, jotka ovat voineet vaikuttaa tutkimustulosten luotettavuuteen.

Tämän vuoksi lääkevalmistekomitea katsoi hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, että Tekinexistä saatava hyöty ei ole sen riskiä suurempi.

Mistä syistä yhtiö peruutti hakemuksen?

Yhtiön kirje, jossa se ilmoittaa lääkevirastolle hakemuksen peruuttamisesta, on luettavissa kohdassa ”Kaikki asiakirjat”.

Mitä seurauksia tämän hakemuksen peruuttamisesta on klinisiin tutkimuksiin tai erityiskäyttöohjelmiin osallistuvilla potilaille?

Lääkeyhtiö ilmoitti lääkevalmistekomitealle, että Tekinexin kliniset tutkimukset jatkuvat.

Harvinaislääkekomitean Tekinexiä koskevan lausunnon tiivistelmä on viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designations.