

18. maaliskuuta 2010
EMA/265135/2010
EMA/H/C/1115

Kysymyksiä ja vastauksia

Lääkevalmistetta Tyvaso (treprostinilnatrium) koskevan myyntilupahakemuksen peruuttaminen

United Therapeutics Europe Ltd ilmoitti 17. helmikuuta 2010 virallisesti lääkevalmistekomitealle (CHMP) haluavansa peruuttaa Tyvaso-lääkevalmistetta koskevan myyntilupahakemuksensa. Tyvasoa oli tarkoitus käyttää lisälääkityksenä potilailla, joilla on keuhkovaltimon hypertensio.

Mitä Tyvaso on?

Tyvaso on lääke, jonka vaikuttava aine on treprostinilnatrium. Sen oli tarkoitus olla saatavana sumutinliuoksena.

Mihin Tyvasoa oli tarkoitus käyttää?

Tyvasoa oli tarkoitus käyttää fyysisen toimintakyvyn parantamiseen potilailla, joilla on keuhkovaltimoiden verenpainetauti eli pulmonaaliarteriahypertensio (PAH). PAH on epänormaalin korkea verenpaine keuhkojen valtimoissa.

Tyvasoa oli tarkoitus käyttää potilailla, joilla on NYHA (New York Heart Association) -luokituksen mukainen luokan III sairaus ja jotka saavat myös joko endoteliinireseptorin antagonistia tai fosfodiesteri-5-entsyymien estäjää (muuta PAH-lääkkeitä). Luokka kuvaa keuhkovaltimoiden verenpainetaudin vaikeutta: luokkaan III liittyy fyysisen toimintakyvyn merkittävä rajoittuminen. Tyvasoa oli tarkoitus antaa inhaloimalla niin, että potilas hengittää lääkkeen suoraan keuhkoihin.

Tyvaso nimettiin keuhkovaltimoiden verenpainetaudin hoitoon tarkoitetuksi harvinaislääkkeeksi (harvinaisen sairauden hoitoon tarkoitettu lääke) 14. huhtikuuta 2004.

Miten Tyvason odotettiin vaikuttavan?

Keuhkovaltimoiden verenpainetauti PAH on heikentävä sairaus, johon liittyy vakavaa keuhkojen verisuonien supistumista. Se aiheuttaa korkeaa verenpainetta suonissa, jotka vievät verta sydäimestä keuhkoihin. Paine vähentää vereen saatavan hapen määrää, jolloin fyysinen toiminta vaikeutuu.

Tyvason vaikuttava aine treprostinilnatrium on prostasykliinin analogi, joka on elimistössä luontaisesti syntyvä molekyyli, joka saa verisuonet laajentumaan. Inhaloitaessa treprostinilnatriumin odotetaan laajentavan keuhkojen verisuonia, mikä voisi lievittää epänormaalin korkeaa verenpainetta keuhkovaltimoissa.

Mitä yhtiö esitti hakemuksensa tueksi?

Treprostiniliä sisältäviä lääkkeitä on ollut saatavilla Euroopassa vuodesta 2005 lähtien. Tämän vuoksi yhtiö käytti joitakin näitä lääkkeitä koskevia tietoja hakemuksessaan Tyvasoa varten. Yhtiö esitti tulokset yhdestä päätutkimuksesta, jossa oli mukana 235 keuhkovaltimoiden verenpainetautia sairastavaa potilasta, jotka saivat myös joko endoteliinireseptorin antagonistia tai fosfodiesteriäsi 5 - entsyymien salpaajaa. Potilaille annettiin olemassa olevan hoidon lisälääkityksenä joko Tyvasoa tai lumelääkettä. Tehokkuuden pääasiallinen mitta oli muutokset potilaiden kuuden minuutin aikana kävelemän matkan pituudessa 12 viikon hoidon jälkeen.

Miten pitkällä hakemuksen arviointi oli peruuttamishetkellä?

Hakemus peruutettiin päivän 181 jälkeen. Tämä tarkoittaa, että lääkevalmistekomitea oli arvioinut yhtiön toimittaman aineiston ja laatinut kysymysluettelon. Lääkevalmistekomitea oli arvioinut yhtiön viimeiseen kysymyskirrokseen antamat vastaukset, mutta joitakin seikkoja oli vielä selvittämättä.

Mikä oli lääkevalmistekomitean suositus tuolloin?

Saamiensa tietojen ja yhtiön kysymysluetteloan antamien vastausten tarkastelun perusteella lääkevalmistekomitea suhtautui varauksellisesti joihinkin seikkoihin peruuttamisajankohtana. Suurin huolenaihe oli ainoan päätutkimuksen kahdessa toteuttamispaikassa tehtyjen tarkastusten yhteydessä tehty havainto, että tutkimusta ei ollut tehty hyvän kliinisen tutkimustavan (GCP) mukaisesti. Tämän vuoksi tutkimuksen tulosten ei katsottu olevan luotettavia, ja lääkevalmistekomitea katsoi, ettei lääkevalmistetta olisi voinut hyväksyä yhtiön esittämien tietojen perusteella.

Mistä syistä yhtiö peruutti hakemuksen?

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

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

Yhtiö ilmoitti lääkevalmistekomitealle, että peruuttamisajankohtana Euroopassa oli käynnissä yksi kliininen tutkimus ja että Tyvasoa annettiin myös erityiskäyttöohjelmassa yhdessä asiantuntijakeskuksessa Saksassa. Näiden potilaiden hoito jatkuu siihen asti, kunnes vaihtoehtoisia hoitoja on saatavana.

Harvinaislääkekomitean Tyvasoa koskevan lausunnon tiivistelmä on [tässä](#).