



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

1. helmikuuta 2019
EMA/38410/2019
EMA/H/C/004487

Vynpenta (avakopaani) koskevan myyntilupahakemuksen peruuttaminen

ChemoCentryx ilmoitti 23. tammikuuta 2019 virallisesti lääkevalmistekomitealle (CHMP) haluavansa peruuttaa lääkevalmistetta Vynpenta (avakopaani) koskevan ehdollisen myyntilupahakemuksensa. Valmiste oli tarkoitettu verisuonisairauksien granulomatoottinen polyangiitti ja mikroskooppinen polyangiitti hoitoon.

Mitä Vynpenta on?

Vynpenta on lääke, jonka vaikuttava aine on avakopaani. Sen oli määrä olla saatavana suun kautta otettavina kapseleina.

Mihin Vynpenta-valmistetta oli tarkoitus käyttää?

Vynpenta oli tarkoitus käyttää verisuonitulehduksen hallintaan granulomatoottista polyangiittia (GPA) tai mikroskooppista polyangiittia (MPA) sairastavilla aikuisilla. Lääkettä oli tarkoitus käyttää yhdessä syklofosfamidin tai rituksimabin kanssa.

Vynpenta nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisissa sairauksissa käytettävä lääke) 19. marraskuuta 2014 näiden sairauksien hoitoon. Lisätietoja harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on tässä: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141373 (granulomatoottinen polyangiitti), ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141372 (mikroskooppinen polyangiitti).

Miten Vynpenta vaikuttaa?

Vynpenta salpaa veressä olevan komplementtiproteiini C5a:n kohdereseptorin. Tämä proteiini on osa immuunijärjestelmää (elimistön luonnollista puolustusmekanismia).

Kun C5a kiinnittyy reseptoriinsa, se houkuttelee ja aktivoi neutrofiileja, jotka ovat immuunisoluja ja joiden uskotaan edistävän pienten verisuonten tulehdusta granulomatoottisessa polyangiitissa ja mikroskooppisessa polyangiitissa. Salpaamalla C5a:n reseptorin Vynpentan odotetaan vähentävän verisuonitulehdusta ja näin lievittävän sairauden oireita.



Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?

Yhtiö esitti ehdollista myyntilupaa koskevan hakemuksensa tueksi tulokset kahdesta tutkimuksesta, joihin osallistui yhteensä 109 potilasta. Toisessa näistä tutkimuksista Vynpentaa verrattiin tavanomaiseen hoitoon, joka sisälsi prednisonia (kortikosteroidi), kun taas toisessa tutkimuksessa Vynpentan ja prednisonin yhdistelmähoitoa verrattiin prednisoniin. Kummassakin tutkimuksessa tehon pääasiallinen mitta oli niiden potilaiden osuus, joiden verisuonitulehdusoireet vähenivät vähintään 50 prosenttia 12 hoitoviikon aikana Birmingham Vasculitis Activity Score (BVAS) -asteikolla mitattuna.

Miten pitkällä hakemuksen arviointi oli, kun se peruutettiin?

Hakemus peruutettiin sen jälkeen, kun lääkevalmistekomitea oli arvioinut yhtiön toimittamat asiakirjat ja laatinut luettelon kysymyksistä. Yhtiö ei ollut vastannut viimeisiin kysymyksiin, kun hakemus peruutettiin.

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, ettei Vynpentaa olisi voitu hyväksyä granulomatoottisen polyangiitin ja mikroskooppisen polyangiitin hoitoon.

Lääkevalmistekomitea havaitsi ongelmia tutkimusasetelmassa ja oli huolissaan siitä, etteivät saatavilla olevat tiedot olleet riittäviä osoittamaan Vynpentan tehoa näiden sairauksien hoidossa. Vaikka tutkimukset viittasivat osittaisiin parannuksiin BVAS-pisteissä useammilla Vynpentaa saaneilla potilailla kuin tavanomaista hoitoa saaneilla potilailla, tulosta ei pidetty täysin merkittävänä, koska sairauden uusiutumisen riski on suuri potilailla, joiden oireet paranevat vain osittain. Lääke ei näyttänyt tehoavan yhtään paremmin kuin tavanomainen hoito toisella mitalla mitattuna eli niiden potilaiden osuutena, joilla ei ollut yhtään oireita.

Turvallisuuden suhteen komitea huomautti, että tiedot Vynpentan haittavaikutuksista ovat hyvin rajallisia. Lisäksi oltiin huolissaan lääkkeen valmistamiseen käytettyjen lähtömateriaalien valinnasta.

Siksi lääkevalmistekomitea katsoi hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, ettei yhtiö ollut toimittanut riittävästi tietoa Vynpentaa koskevan myyntilupahakemuksen tueksi.

Mistä syistä yhtiö peruutti hakemuksen?

Kirjeessään, jossa yhtiö ilmoittaa virastolle hakemuksen peruuttamisesta, se toteaa päättäneensä keskittyä normaalin myyntilupahakemuksen toimittamiseen tulevaisuudessa, koska pian on saatavilla lisätietoja meneillään olevasta tutkimuksesta, jossa yli 300 potilasta saa hoitoa 52 viikon ajan.

Peruuttamista koskeva kirje on [tässä](#).

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

Yhtiö ilmoitti lääkevalmistekomitealle, ettei peruuttamisesta ole mitään seurauksia parhaillaan toteutettaviin Vynpentaa koskeviin klinisiin tutkimuksiin tai erityiskäyttöohjelmiin.

Jos olet mukana klinisessä tutkimuksessa tai erityiskäyttöohjelmassa ja tarvitset lisätietoa hoidostasi, ota yhteyttä hoitavaan lääkäriin.