



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

27. maaliskuuta 2026
EMA/70818/2026
EMA/H/C/006475

Blarcamesine Anavexin -lääkevalmistetta (blarkamesiini) koskevan myyntilupahakemuksen peruuttaminen

Anavex Germany GmbH peruutti myyntilupahakemuksensa, joka koski Alzheimerin taudin ja dementian (kognitiivisen heikentymisen) hoitoon tarkoitettua Blarcamesine Anavex -lääkevalmistetta.

Yhtiö peruutti hakemuksen 25. maaliskuuta 2026.

Euroopan lääkevirasto oli suositellut myyntiluvan epäämistä joulukuussa 2025. Lääkeyhtiö oli pyytänyt viraston lausunnon uudelleenarviointia, mutta se peruutti hakemuksen ennen uudelleenarvioinnin päättymistä.

Mitä Blarcamesine Anavex on ja mihin sitä oli tarkoitus käyttää?

Blarcamesine Anavex kehitettiin lääkkeeksi Alzheimerin tautia ja dementiaa sairastavien aikuisten hoitoon.

Arvioinnin aikana yhtiö ehdotti käyttöaiheen rajoittamista aikuisiin, joilla on varhainen Alzheimerin tauti ja lievä kognitiivinen heikentyminen (MCI) Alzheimerin taudin vuoksi tai varhainen lievä dementia Alzheimerin taudin vuoksi ja joilla ei ole mutaatiota (muutosta) *SIGMAR1*-geenissä. *SIGMAR1* on geeni, joka antaa ohjeet sigma-1-reseptoriproteiinin valmistamiseen. Sigma-1-reseptoriproteiini osallistuu soluprosesseihin, jotka edistävät hermosolujen terveyttä ja eloonjäämistä. Lääkettä oli tarkoitus käyttää muiden hoitojen lisäksi.

Blarcamesine Anavexin vaikuttava aine on blarkamesiini, ja sitä oli määrä olla saatavana suun kautta otettavina kapseleina.

Miten Blarcamesine Anavex vaikuttaa?

Varhaisvaiheen Alzheimerin tautia sairastavilla potilailla kognitiivisen heikentymisen aiheuttaa aivojen hermosolujen kato. Blarcamesine Anavexin vaikuttava aine blarkamesiini aktivoi sigma-1-reseptoriproteiinia. Aktivoimalla sigma-1-reseptoriproteiinia blarkamesiinin odotettiin auttavan hermosoluja toimimaan asianmukaisesti ja suojaavan niitä tulehduksen aiheuttamilta vaurioilta. Tämän odotettiin hidastavan kognitiivisten toimintojen heikentymistä.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?

Yhtiö esitti tulokset päätutkimuksesta, johon osallistui 462 varhaisvaiheen Alzheimerin tautia sairastavaa 60–85-vuotiasta aikuista. Tutkimukseen osallistuneille potilaille annettiin joko Blarcamesine Anavexia tai lumelääkettä. Tehon pääasiallisena mittana olivat kognitiiviset toiminnot ja kyky suoriutua päivittäisistä toimista 48 viikon aikana. Kognitiivisia toimintoja mitattiin Alzheimerin taudin arviointiasteikon kognitiivisella ala-asteikolla (ADAS-Cog13), ja kykyä suoriutua päivittäisistä toimista mitattiin Alzheimerin tautia koskevan yhteistyötutkimuksen päivittäisten perustoimintojen asteikolla (ADCS-ADL). Yhtiö esitti myös tulokset analyyseistä, jotka oli tehty päätutkimuksen potilaiden alaryhmästä eli varhaisvaiheen Alzheimerin tautia sairastavista aikuisista, joilla ei ollut mutaatiota SIGMAR1-geenissä.

Miten pitkällä hakemuksen arviointi oli, kun se peruutettiin?

Alustava arviointi oli päättynyt 11. joulukuuta 2025, ja Euroopan lääkevirasto oli suositellut myyntiluvan epäämistä. Lääkeyhtiö pyysi viraston lausunnon uudelleenarviointia, mutta peruutti hakemuksen ennen uudelleenarvioinnin päättymistä.

Mikä oli viraston suositus tuolloin?

Ensimmäisen arvioinnin aikaan virasto katsoi, että päätutkimuksessa ei pystytty osoittamaan Blarcamesine Anavexin tehoa ja turvallisuutta varhaisvaiheen Alzheimerin tautia sairastavilla potilailla, joilla ei ole mutaatiota SIGMAR1-geenissä.

Päätutkimus ei täyttänyt päätavoitettaan, joka oli osoittaa, että molemmat tehon pääasialliset mittarit vähenivät vähemmän kuin lumelääkkeellä. Lisäksi analyyseissä oli menetelmäkysymyksiä, jotka herättivät huolta tulosten validiteetista. Kun otetaan huomioon päätutkimuksen epäonnistuminen ja menetelmäkysymykset, ja niiden potilaiden alaryhmää, joilla ei ollut SIGMAR1-mutaatioita, koskevien tietojen analyysin perusteella lääkkeen tehoa ei voitu osoittaa.

Turvallisuuden osalta voidaan todeta, että Blarcamesine Anavexin turvallisuusprofiilia ei voitu kuvata riittävästi turvallisuustietokannan rajoitusten ja turvallisuustietojen keruutavan vuoksi. Virasto totesi, että suuri osa potilaista lopetti hoidon päätutkimuksen aikana pääasiassa keskushermostoon liittyvien haittavaikutusten vuoksi, mikä herätti huolta siitä, miten hyvin lääkettä siedetään.

Laadun osalta virasto katsoi, että toimitettujen tietojen perusteella ei ollut mahdollista sulkea pois nitrosamiiniepäpuhtauksien (epäpuhtauksien, jotka voisivat aiheuttaa syöpää) muodostumista.

Tehdessään päätelmänsä Blarcamesine Anavexin tehosta ja turvallisuudesta virasto totesi, että Alzheimerin taudin hoitoon on täyttämätön lääketieteellinen tarve, ja otti huomioon niiden potilaiden ja terveydenhuollon ammattilaisten näkemykset, jotka jakoivat sairauden kanssa elämiseen tai hoitoon liittyviä tarpeitaan ja kokemuksiaan.

Vaikka yhtiö haki ehdollista myyntilupaa, lääke ei täyttänyt tämäntyyppisen myyntiluvan myöntämisen kriteerejä. Tämän vuoksi virasto suositteli ehdollisen myyntiluvan epäämistä.

Mistä syistä yhtiö peruutti hakemuksen?

[Kirjeessään](#), jossa yhtiö ilmoittaa virastolle hakemuksen peruuttamisesta, se toteaa, että peruuttaminen perustuu viraston ihmisille tarkoitettuja lääkkeitä käsittelevältä komitealta (CHMP) saatuun palautteeseen, jonka mukaan toimitettujen tietojen perusteella ei olisi ollut mahdollista päätellä, että lääkkeen hyödyt olisivat sen riskejä suuremmat.

Vaikuttaako hakemuksen peruuttaminen klinisiin tutkimuksiin tai erityiskäyttöohjelmiin osallistuviin potilaisiin?

Yhtiö ilmoitti virastolle, että peruuttamisesta ei ole mitään seurauksia potilaille, jotka osallistuvat Blarcamesine Anavexia koskeviin klinisiin tutkimuksiin tai erityiskäyttöohjelmiin.

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