



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

18. lokakuuta 2024
EMA/475293/2024
EMA/H/C/006186

Epixram-valmistetta (levetirasetaami) koskevan myyntilupahakemuksen peruuttaminen

Neuraxpharm Pharmaceuticals S.L. on peruuttanut epilepsiapotilaiden kohtausten hoitoon tarkoitettua Epixram-lääkevalmistetta koskevan myyntilupahakemuksensa.

Yhtiö peruutti hakemuksen 19. syyskuuta 2024.

Mitä Epixram on ja mihin sitä oli tarkoitus käyttää?

Epixram kehitettiin epilepsian hoitoon. Sitä oli tarkoitus käyttää yksinään vähintään 16-vuotiailla potilailla, joilla on hiljattain diagnosoitu epilepsia, paikallisalkuisten (tietyissä aivojen osassa alkavien) yleistyvien (kun poikkeava sähkötoiminta leviää aivoissa) tai yleistymättömien kohtausten hoitoon.

Epixramia oli tarkoitus käyttää myös muiden epilepsialääkkeiden lisänä vähintään 12-vuotiailla potilailla seuraavien hoidossa:

- paikallisalkuiset, yleistyvät tai yleistymättömät kohtaukset epilepsiapotilailla
- myokloniset kohtaukset (jonkin yksittäisen lihaksen tai kokonaisen lihasryhmän lyhyet sokkimaiset nykimiset) nuoruusiän myoklonista epilepsiaa sairastavilla potilailla
- primääriset yleistyneet toonis-klooniset kohtaukset (vaikeat kohtaukset, joihin liittyy tajunnan menetys) potilailla, joilla on idiopaattinen yleistynyt epilepsia (epilepsian tyyppi, jota pidetään geneettisenä).

Epixramin vaikuttava aine on levetirasetaami, ja sitä oli tarkoitus saada suun kautta otettavina depotrakeina. Depot tarkoittaa sitä, että vaikuttava aine vapautuu hitaasti elimistöön muutaman tunnin aikana ottamisesta.

Epixram kehitettiin Keppran ns. hybridilääkkeeksi. Tämä tarkoittaa, että Epixramissa on samaa vaikuttavaa ainetta kuin Kepprassa, mutta sitä oli tarkoitus antaa eri tavalla. Keppraa on saatavana tabletteina, suun kautta otettavana liuoksena ja infuusiona (tiputuksena) laskimoon, kun taas Epixramia oli tarkoitus käyttää depotrakeina.

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



Miten Epixram vaikuttaa?

Epixramin vaikuttavaa ainetta levetirasetaamia käytetään epilepsian hoitoon. Epilepsia johtuu aivojen liiallisesta sähköisestä toiminnasta. Levetirasetaamin tarkkaa vaikutustapaa ei tunneta, mutta sen oletetaan kiinnittyvän synapsirakkulan proteiiniin 2A, jota esiintyy hermojen välisissä tiloissa ja joka osallistuu kemiallisten viestiaineiden vapautumiseen hermosoluista. Levetirasetaami vakauttaa aivojen sähköistä toimintaa ja ehkäisee epilepsiaa sairastavien potilaiden kohtauksia.

Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?

Vaikuttavan aineen hyötyä ja riskejä koskevat tutkimukset on jo suoritettu viitevalmiste Kepralla, joten kaikkia tutkimuksia ei ollut tarpeen toistaa Epixramin osalta. Yhtiö toimitti Epixramin laatua koskevia tutkimuksia, kuten kaikkien lääkkeiden osalta tehdään. Yhtiö teki myös tutkimuksia sen selvittämiseksi, onko Epixram biologisesti samanarvoinen alkuperäislääke Kepran kanssa. Kaksi lääkettä ovat biologisesti samanarvoisia, kun ne saavat aikaan saman pitoisuuden vaikuttavaa ainetta elimistössä, jolloin niiden vaikutuksen odotetaan olevan samanlainen.

Miten pitkällä hakemuksen arviointi oli, kun se peruutettiin?

Hakemus peruutettiin sen jälkeen, kun Euroopan lääkevirasto oli arvioinut yhtiön toimittamat tiedot ja laatinut luettelon kysymyksistä. Kun virasto oli arvioinut yhtiön viimeisiin kysymyksiin antamat vastaukset, joitakin seikkoja oli vielä selvittämättä.

Mikä oli viraston 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 Epixramia ei olisi voitu hyväksyä epilepsiapotilaiden kohtausten hoitoon.

Virasto katsoi, että yhtiön toimittamat tiedot eivät osoittaneet biologista samanarvoisuutta Epixramin ja viitevalmisteen Kepran välillä. Tämän vuoksi lääkevirasto pyysi hybridilääkkeitä koskevien EMAn ohjeiden mukaisesti yhtiötä toimittamaan lisätietoja, jotka osoittavat, että Epixram vastaa viitevalmistetta ja vaikuttaa siten samalla tavalla, sekä lisätietoja Epixramin turvallisuudesta. Vaikka yhtiö toimitti tietoja tutkimuksesta, joka perustui reaali maailman tietoihin, virasto ei pitänyt toimitettuja tietoja riittävinä päätelmien tekemiseksi terapeuttisesta vastaavuudesta.

Näin ollen lääkeviraston kantana peruuttamisen ajankohtana oli, että yhtiö ei ollut toimittanut riittävästi tietoja Epixramin myyntiluvan tueksi.

Mistä syistä yhtiö peruutti hakemuksen?

[Kirjeessään](#), jossa yhtiö ilmoittaa virastolle hakemuksen peruuttamisesta, se toteaa syyksi sääntelystrategiansa muutoksen.

Mitä seurauksia tämän hakemuksen peruuttamisesta on klinisiin tutkimuksiin osallistuvilla potilaille?

Yhtiö ilmoitti virastolle, että Epixram-valmisteesta ei ollut käynnissä klinistä lääketutkimusta.