



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

28. helmikuuta 2025
EMA/67546/2025
EMA/H/C/006348

Pelgraz Paediatric -lääkevalmistetta (pegfilgrastiimi) koskevan myyntilupahakemuksen peruuttaminen

Accord Healthcare S.L.U. peruutti Pelgraz Paediatric -lääkevalmistetta koskevan myyntilupahakemuksensa. Pelgraz Paediatric oli tarkoitettu neutropenian (neutrofiilien eli infektioita torjuvien valkosolujen pieni määrä) hoitoon ja ehkäisemään kuumeista neutropeniaa syöpää sairastavilla lapsilla. Neutropenia on syövän solunsalpaajahoitojen yleinen haittavaikutus ja lisää infektioiden riskiä.

Yhtiö peruutti hakemuksen 20. helmikuuta 2025. Tämä peruutus ei vaikuta Pelgrazin myyntilupaan. Pelgraz on hyväksytty neutropenian hoitoon aikuisilla syöpäpotilailla.

Mitä Pelgraz Paediatric on ja mihin sitä oli tarkoitus käyttää?

Pelgraz Paediatric kehitettiin lääkkeeksi, jolla oli määrä lyhentää neutropenian kestoa ja ehkäistä kuumeista neutropeniaa lapsilla, joilla on syöpä ja jotka painavat 10–45 kg.

Pelgraz Paediatric -valmisteen vaikuttava aine on pegfilgrastiimi. Sitä oli tarkoitus olla saatavana esitäytetyssä ruiskussa, joka sisältää ihon alle injektoitavaa liuosta, joka annetaan kerta-annoksena kunkin solunsalpaajahoitojakson jälkeen.

Pelgraz Paediatric kehitettiin biologisesti samankaltaiseksi lääkevalmisteeksi. Tämä tarkoittaa, että Pelgraz Paediatric -valmisteen oli tarkoitus olla hyvin samankaltainen kuin toinen pegfilgrastiimia sisältävä biologinen lääke (viitevalmiste), jolla on jo myyntilupa EU:n alueella. Pelgraz Paediatric -valmisteen viitevalmiste on Neulasta, joka on hyväksytty käytettäväksi ainoastaan aikuisilla, kun taas Pelgraz Paediatric oli kehitetty erityisesti lapsille käytettäväksi (lastenlääkkeen myyntilupa). Lue lisää [biologisesti samankaltaisista lääkevalmisteista](#).

Miten Pelgraz Paediatric vaikuttaa?

Pelgraz Paediatric -valmisteen ja Neulastan vaikuttava aine pegfilgrastiimi on filgrastiimin muoto, joka on hyvin samankaltainen kuin ihmisen proteiini nimeltä granulosyyttikasvutekijä (G-CSF). Granulosyyttikasvutekijän tavoin filgrastiimi vaikuttaa stimuloimalla luuydintä tuottamaan lisää valkosoluja, mikä lisää valkosolujen määrää ja ehkäisee ja hoitaa näin neutropeniaa ja auttaa elimistöä puolustautumaan infektioita vastaan.

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



Filgrastiimia on ollut saatavilla muissa lääkkeissä Euroopan unionissa usean vuoden ajan. Pelgraz Paediatric -valmisteesta ja Neulastassa filgrastiimi on pegyloitu (kiinnitetty polyetyleeniglykolimiseen kemikaaliin). Tämä hidastaa filgrastiimin poistumista elimistöstä, jolloin lääkettä voidaan antaa harvemmin.

Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?

Yhtiö esitti tutkimuksia osoittaakseen, että Pelgraz Paediatric on verrattavissa aikuisten viitevalmisteeseen. Koska Pelgraz Paediatric -valmistetta oli tarkoitus käyttää lapsilla, joiden osalta viitevalmisteella ei ollut myyntilupaa, yhtiö esitti tulokset päätutkimuksesta, johon osallistui 12 alle 6-vuotiasta lasta, jotka saivat solunsalpaajahoidon syövän hoitoon. Tutkimuksessa Pelgraz Paediatric -valmistetta verrattiin filgrastiimin pegyloimattomaan formulaatioon.

Yhtiö toimitti myös muita tietoja, kuten tieteellisestä kirjallisuudesta saatuja tietoja ja kaksi meta-analyysia (useiden julkaistujen tutkimusten yhdistelmäanalyysit), joilla tuettiin pegfilgrastiimin tehoa ja turvallisuutta lapsilla ehdotetussa annostusohjelmassa.

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?

Virasto suhtautui saamiensa tietojen ja yhtiön kysymysluetteloon antamien vastausten tarkastelun perusteella varauksellisesti joihinkin seikkoihin hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, ja sen alustava kanta oli, että Pelgraz Paediatric -valmistetta ei olisi voitu hyväksyä neutropenian lievittämiseen ja kuumeisen neutropenian ehkäisemiseen 10–45 kg painavilla syöpää sairastavilla lapsilla.

Virastolla oli huolenaiheita siitä, että tiedot eivät tukeneet ehdotettua annostusohjelmaa riittävästi. Lisäksi oli huolenaiheita esitetyllä ruiskulla annetun annoksen tarkkuudesta, mikä voisi johtaa annosteluvirheisiin. Siksi virasto katsoi hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, että Pelgraz Paediatric -valmisteesta saatava hyöty ei ole sen riskejä suurempi.

Mistä syistä yhtiö peruutti hakemuksen?

[Kirjeessään](#), jossa yhtiö ilmoittaa virastolle hakemuksen peruuttamisesta, se toteaa peruuttavansa hakemuksen viraston esittämien huolenaiheiden vuoksi.

Mitä seurauksia tämän hakemuksen peruuttamisesta on kliinisiin tutkimuksiin osallistuvilla potilaille?

Yhtiö ilmoitti virastolle, että peruuttamisesta ei ole mitään seurauksia potilaille, jotka osallistuvat Pelgraz Paediatric -valmistetta koskeviin kliinisiin tutkimuksiin.

Jos olet mukana kliinisessä tutkimuksessa ja tarvitset lisätietoa hoidostasi, keskustele asiasta kliinisen tutkimuksen lääkärin kanssa.