

15. marraskuuta 2012
EMA/725439/2012
EMA/H/C/tuotenumero

Kysymyksiä ja vastauksia

Lääkevalmisteen Istodax (romidepsiini) myyntilupahakemuksen epääminen

Uusintakäsittelyn tulos

Lääkevalmistekomitea (CHMP) antoi 19. heinäkuuta 2012 kielteisen lausunnon, jossa se suositteli myyntiluvan epäämistä lääkevalmisteelta Istodax, joka oli tarkoitettu perifeeristä T-solulymfoomaa sairastavien potilaiden hoitoon. Myyntilupaa hakenut yhtiö on Celgene Europe Ltd.

Hakija pyysi lausunnon uudelleen käsittelyä. Tutkittuaan uudelleen käsittelypyynnön perusteet lääkevalmistekomitea käsitteli alkuperäisen lausunnon uudelleen ja vahvisti myyntiluvan epäämisen 15. marraskuuta 2012.

Mitä Istodax on?

Istodax on lääke, jonka vaikuttava aine on romidepsiini. Sitä oli määrä olla saatavana kuiva-aineena ja liuottimena, joista valmistetaan liuos infuusiota varten (tiputus laskimoon).

Mihin Istodaxia oli tarkoitus käyttää?

Istodaxia oli määrä käyttää perifeeristä T-solulymfoomaa sairastavien aikuisten hoidossa, kun sairaus ei enää vastaa hoitoon tai kun se on uusiutunut vähintään kahden aikaisemman hoitojakson jälkeen. Perifeerinen T-solulymfooma on T-solujen eli eräiden immuunijärjestelmään kuuluvien valkosolujen syöpä.

Istodax määriteltiin perifeerisen T-solulymfooman (nodaalisen, muun ekstrapodaalisen ja leukeemisen/disseminoituneen tyypin) hoitoon tarkoitetuksi harvinaislääkkeeksi 28. lokakuuta 2005.

Miten Istodaxin odotettiin vaikuttavan?

Istodaxin vaikuttavan aineen, romidepsiinin, oletetaan vaikuttavan estämällä histonideasetylaasi-nimisten proteiinien toimintaa. Nämä proteiinit osallistuvat geenien eräänlaiseen päälle- ja pois päältä

-kytkentään soluissa. Romidepsiinin tarkkaa toimintatapaa perifeerisen T-solulymfooman hoidossa ei tunneta, mutta oletetaan, että sen vaikutukset, jotka kohdistuvat solujen lisääntymistä ja solukuolemaa sääteleviin geeneihin, pienentävät syöpäsolujen kasvu- ja jakautumisnopeutta.

Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?

Istodaxin vaikutuksia on testattu ensin koemalleilla ennen sen tutkimista ihmisillä.

Yhtiö esitti tulokset yhdestä Istodaxilla tehdystä päätutkimuksesta. Siihen osallistui 131 perifeeristä T-solulymfoomaa sairastavaa potilasta, joita oli hoidettu aiemmin. Tutkimuksessa Istodaxia ei verrattu mihinkään muuhun lääkkeeseen. Tehokkuuden pääasiallinen mittari perustui niiden potilaiden määrään, joiden hoitovaste oli täydellinen.

Mitä olivat lääkevalmistekomitean tärkeimmät epäämiseen johtaneet huolenaiheet?

Lääkevalmistekomitea totesi heinäkuussa 2012, että päätutkimus osoitti, että Istodax esti kasvainten kasvua potilaiden hoitovasteella mitattuna. Koska Istodaxia ei verrattu mihinkään muuhun lääkkeeseen, komitea ei voinut tehdä johtopäätöstä lääkkeen kliinisestä hyödystä kokonaiselinajan (kuinka kauan potilaat elivät) tai etenemisvapaan elinajan (kuinka kauan potilaat elivät ilman sairauden pahenemista) perusteella. Lisäksi lääkevalmistekomitea katsoi, ettei yhtiö pystynyt erehdyksen vuoksi toimittamaan asianmukaista todistusta hyvästä valmistuskäytännöstä (GMP) lääkkeen valmistuspaikan osalta, vaikka tämä todistus on lakisääteinen vaatimus.

Marraskuussa 2012 uudelleenarvioinnin jälkeen lääkevalmistekomitea kumosi huolenaiheensa hyvää valmistuskäytäntöä koskevan todistuksen puuttumisesta mutta piti muut huolenaiheet ennallaan. Komitea ei voinut tehdä johtopäätöstä etenkin lääkkeen kliinisestä hyödystä. Koska lääkettä ei verrattu mihinkään muuhun lääkkeeseen, ei ollut mahdollista määrittää, johtuivatko havaitut vaikutukset lääkkeestä vai päätutkimukseen osallistuneiden potilaiden sairauden ominaispiirteistä. Sen vuoksi ei ollut mahdollista tehdä sellaista johtopäätöstä, että lääkkeen hyöty on sen riskejä suurempi. Näin ollen lääkevalmistekomitea vahvisti alkuperäisen kielteisen lausuntonsa.

Mitä seurauksia myyntiluvan epäamisestä on klinisiin tutkimuksiin tai erityiskäyttöohjelmiin osallistuville potilaille?

Yhtiö on ilmoittanut lääkevalmistekomitealle, ettei peruuttamisesta ole mitään seurauksia potilaille, jotka osallistuvat Istodaxia koskeviin klinisiin tutkimuksiin tai erityiskäyttöohjelmiin.

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

Harvinaislääkekomitean Istodaxia käsittelevän lausunnon tiivistelmä on viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.