

London den 25 september 2008

Dok. ref: EMEA/404511/2008

Frågor och svar om återkallandet av ansökan om godkännande för försäljning för Orplatna

Internationellt generiskt namn (INN): *satraplatin*

Den 1 augusti 08 anmälde Pharmion Ltd. officiellt till Kommittén för humanläkemedel (CHMP) att man önskar dra tillbaka sin ansökan om godkännande för försäljning av Orplatna för behandling av patienter med metastaserande hormonrefraktär prostatacancer som inte svarat på tidigare kemoterapi.

Vad är Orplatna?

Orplatna är ett läkemedel som innehåller den aktiva substansen satraplatin. Det skulle ha funnits som kapslar med 10 eller 50 mg satraplatin som skulle tas genom munnen.

Vad skulle Orplatna användas för?

Orplatna skulle användas för att behandla prostatacancer. Denna cancer drabbar prostatan, den körtel som finns nedanför urinblåsan hos män och bildar vätskan i sädesvätskan. Läkemedlet skulle ges tillsammans med prednison eller prednisolon (antiinflammatoriska läkemedel) till patienter som inte svarat på andra läkemedel mot cancer när canceren spridits från det ursprungliga stället till andra delar av kroppen (metastaserande cancer) och visat sig vara "hormonrefraktär". Detta innebär att canceren inte svarar på hormonbehandling.

Hur är det tänkt att Orplatna ska verka?

Satraplatin, den aktiva substansen i Orplatna, är ett cellgift (ett läkemedel som dödar celler som delar sig, t.ex. cancerceller) som hör till gruppen platinaföreningar. Dessa föreningar framställs ur metallen platina. I kroppen är det tänkt att satraplatin ska binda till DNA i cellerna, vilket hindrar dem från att föröka sig. Det ska därigenom stoppa tillväxten av tumörcellerna så att de slutligen dör.

Vilken dokumentation har företaget lämnat till CHMP som stöd för sin ansökan?

Effekterna av Orplatna prövades först i olika experimentmodeller innan de studerades på människor. I en huvudstudie jämfördes effekten av att ge Orplatna eller placebo (overksam behandling) som tillägg till prednison till 950 patienter med metastaserande hormonrefraktär prostatacancer som sviktat vid minst en tidigare behandling. Huvudeffektmåttet var "progressionsfri överlevnad" (den tid det tog för sjukdomen att förvärras) samt total överlevnadstid. Den progressionsfria överlevnaden mättes med hjälp av en "sammansatt" metod som innebär att fler än ett symptom kan användas som mått. I detta fall kan mått på progressionen vara huruvida nya tumörer som upptäcks under skanningen uppstår, nya skelettproblem uppträder, symtomen (såsom smärta, viktnedgång eller problem vid urinering) förvärras eller patienten avlider.

Hur långt hade utvärderingen kommit när ansökan drogs tillbaka?

Ansökan var på dag 180 när företaget drog tillbaka den. Vissa frågetecken kvarstod när CHMP hade bedömt företagets svar på frågorna i listan.

Det tar normalt upp till 210 dagar för CHMP att utvärdera en ny ansökan. CHMP går igenom den första dokumentationen och gör en lista med frågor (dag 120) som skickas till företaget. När företaget har svarat på frågorna går CHMP igenom svaren och kan ställa fler frågor (dag 180) innan de avger sitt yttrande. Efter CHMP:s yttrande tar det oftast omkring två månader för Europeiska kommissionen att utfärda ett godkännande för försäljning.

Vad rekommenderade CHMP vid den tidpunkten?

Efter genomgången av de nämnde uppgifterna och företags svar på CHMP:s frågelista hyste CHMP vid tidpunkten för återkallandet vissa betänkligheter och ansåg preliminärt att Orplatna inte hade kunnat godkännas för behandling av metastaserande hormonrefraktär prostatacancer.

Vilka var CHMP:s främsta betänkligheter?

CHMP var bekymrad över att effekten av Orplatna inte påvisats tillräckligt. Jämfört med placebo ökade Orplatna inte den totala överlevnadstiden och den ringa förbättring som observerats i fråga om progressionfri överlevnad ansågs inte relevant på grund av att fördelar i fråga om total överlevnadstid saknades. Dessutom var CHMP bekymrad över den sammansatta mätningen av progressionsfri överlevnad som kommittén noterade inte hade styrkts tillräckligt.

Kommittén noterade även att docetaxel är den normala förstahandsbehandlingen för hormonrefraktär prostatacancer och att det är sannolikt att de flesta patienter som skulle dra fördel av behandling med Orplatna skulle ha sviktat vid behandling med docetaxel. Kommittén var dock bekymrad över att de patienter i huvudstudien som tidigare behandlats med docetaxel fått fler biverkningar av Orplatna än de patienter som fått andra läkemedel mot cancer före studien.

Vid tidpunkten för återkallandet ansåg därför CHMP att fördelarna med Orplatna inte hade bevisats tillräckligt och inte var större än de identifierade riskerna.

Vilka skäl angav företaget till att dra tillbaka sin ansökan?

Företagets skrivelse till EMEA om sin önskan att dra tillbaka sin ansökan finns [här](#).

Vilka följder får återkallandet för patienter som deltar i kliniska prövningar/humanitära program (s.k.compassionate use-program) med Orplatna?

Företaget har informerat CHMP om att beslutet inte får några följder för patienter som för närvarande deltar i kliniska prövningar.

Om du deltar i en klinisk prövning eller ett humanitärt program och behöver mer information om din behandling ska du kontakta den läkare som ger dig läkemedlet.