



London den 19 december 2008

Dok.Ref. EMEA/651597/2008

## **Frågor och svar om återkallandet av ansökan om godkännande för försäljning för Theraloc**

Internationellt generiskt namn (INN): **nimotuzumab**

Den 1 december 2008 anmälde Oncoscience AG officiellt till Kommittén för humanläkemedel (CHMP) att man önskar dra tillbaka sin ansökan om godkännande för försäljning av Theraloc för behandling av barn och ungdomar med resistent eller recidiverande höggradiga gliom. Theraloc klassificerades som särlekemedel den 2 september 2004.

### **Vad är Theraloc?**

Theraloc är ett koncentrat som bereds till en infusionsvätska, lösning (dropp i en ven). Det innehåller den aktiva substansen nimotuzumab.

### **Vad skulle Theraloc användas för?**

Theraloc skulle användas för behandling av ungdomar och barn från tre års ålder med höggradiga gliom. Gliom är en typ av hjärntumör som har sitt ursprung i gliaceller (de celler som omger och stödjer nervceller). Theraloc skulle användas när gliomen var "resistent" (inte svarade på annan behandling) eller "recidiverande" (hade kommit tillbaka efter tidigare behandling).

### **Hur är det tänkt att Theraloc ska verka?**

Den aktiva substansen i Theraloc, nimotuzumab, är en monoklonal antikropp. En monoklonal antikropp är en antikropp (en typ av protein) som har utformats för att känna igen och binda till en viss struktur (som kallas antigen) som finns på ytan av vissa celler i kroppen. Nimotuzumab binder till ett antigen som kallas epidermal tillväxtfaktorreceptor (EGFR), ett protein som finns på ytan av vissa tumörceller. När EGFR aktiveras bidrar detta till att tumörceller tillväxer, förökar sig och sprids. Genom att nimotuzumab blockerar EGFR förväntades Theraloc fördröja gliomens progression.

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

Effekterna av Theraloc prövades först i olika experimentmodeller innan de studerades på människor. Theraloc har undersökts i en huvudstudie med 47 barn och ungdomar med gliom för vilka det inte fanns någon tillgänglig behandling som kunde bota sjukdomen. Theraloc jämfördes inte med någon annan behandling. Huvudeffektmåttet var antalet patienter som svarade på behandlingen. En patient klassificerades som svarare om tumörerna försvann, krympte i storlek eller inte tillväxte.

### **Hur långt hade utvärderingen kommit när ansökan drogs tillbaka?**

Ansökan var på dag 173 när företaget drog tillbaka den. Vissa frågetecken kvarstod när CHMP hade bedömt företagets svar på en lista med frågor.

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 inlämnade uppgifterna och företagets svar på CHMP:s frågelista hyste CHMP vid tidpunkten för återkallandet vissa betänkligheter och ansåg preliminärt att Theraloc inte hade kunnat godkännas för behandling av barn och ungdomar med recidiverande höggradiga gliom.

**Vilka var CHMP:s främsta betänkligheter?**

CHMP hade betänkligheter på grund av att företaget inte hade lämnat in tillräckliga bevis för att Theraloc kunde framställas på ett tillförlitligt sätt och på grund av att otillräckligt med information hade tillhandahållits om hur kroppen reagerar på läkemedlet.

Kommittén hade betänkligheter på grund av att fördelarna med Theraloc inte hade bevisats, eftersom huvudstudien inte visade några fördelar i form av överlevnad och eftersom tumörerna inte försvann helt hos någon av de patienter som behandlades med Theraloc. Dessutom var det oklart huruvida alla patienter som deltog i studien hade en resistent eller recidiverande sjukdom.

CHMP hade också betänkligheter när det gällde läkemedlets säkerhet. Inga uppgifter tillhandahölls om huruvida kroppen skulle producera antikroppar mot läkemedlet, och risken för biverkningar var hög. Vid tidpunkten för återkallandet ansåg därför CHMP att fördelarna med Theraloc inte hade bevisats tillräckligt och inte var större än de identifierade riskerna.

**Vilka skäl angav företaget till att återkalla sin ansökan?**

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

**Vilka följder får tillbakadragandet för patienter som deltar i kliniska prövningar eller humanitära program (s.k. compassionate use-program) med Theraloc?**

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

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.