



London den 20 augusti 2009
Ref.dok. EMEA/700532/2009
EMA/H/C/1069

**Frågor och svar om återkallande av ansökan om godkännande för försäljning
för
Bosatria
mepolizumab**

Den 28 juli 2009 anmälde Glaxo Group Limited officiellt till Kommittén för humanläkemedel (CHMP) att man önskar dra tillbaka sin ansökan om godkännande för försäljning av Bosatria för behandling av vuxna med hypereosinofilt syndrom för att minska eller eliminera behovet av kortikosteroidbehandling samt för att minska antalet eosinofiler i blodet.

Vad är Bosatria?

Bosatria är ett pulver till infusionsvätska (dropp i en ven). Det innehåller den aktiva substansen mepolizumab.

Vad skulle Bosatria användas för?

Bosatria var tänkt att användas för behandling av vuxna med hypereosinofilt syndrom. Detta är en sjukdom vid vilken antalet eosinofiler (en viss typ av vita blodkroppar) ökar okontrollerat. De ackumuleras i olika organs vävnader och kan skada exempelvis hjärta, lever och lungor. Bosatria var tänkt att ges till patienter som saknar fusionsgenen FIP1L1-PDGFR för att minska eller eliminera behovet av behandling med kortikosteroider (steroider som används för att behandla sjukdomen) samt för att minska antalet eosinofiler i blodet.

Den 29 juli 2004 klassificerades Bosatria som särlekemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) för behandling av hypereosinofilt syndrom.

Hur är det tänkt att Bosatria ska verka?

Den aktiva substansen i Bosatria, mepolizumab, är en monoklonal antikropp. En monoklonal antikropp är en antikropp (ett slags protein) som har utformats för att identifiera och binda till en viss struktur (ett antigen) som finns i kroppen. Mepolizumab har utformats för att binda till en kemisk budbärare som kallas interleukin 5 (IL-5), som bidrar till tillväxten av eosinofiler. Genom att binda till IL-5 förväntades mepolizumab minska ansamlingen av eosinofiler i blodet och därmed lindra symtomen hos patienter med hypereosinofilt syndrom.

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

Effekterna av Bosatria prövades först i olika experimentmodeller innan de studerades på människor. I en huvudstudie med sammanlagt 85 vuxna med hypereosinofilt syndrom jämfördes Bosatria med placebo (overksam behandling). Samtliga patienter saknade fusionsgenen FIP1L1-PDGFR och behandlades med prednison (en kortikosteroid) som bidrog till att stabilisera symtomen. Under studien fick patienterna antingen Bosatria eller placebo samtidigt som den mängd prednison som de behandlades med minskades successivt. Det viktigaste effektmåttet var antalet patienter vars dagliga dos av prednison kunde minskas till 10 mg eller mindre under en åttaveckorsperiod.

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 inlämnade uppgifterna och företagets svar på CHMP:s frågelista hyste CHMP vid tidpunkten för återkallandet vissa betänkligheter och ansåg preliminärt att Bosatria inte hade kunnat godkännas för behandling av vuxna med hypereosinofilt syndrom som saknar fusionsgenen FIP1L1-PDGFR för att minska eller eliminera behovet av kortikosteroidbehandling samt för att minska antalet eosinofiler i blodet.

Vilka var CHMP:s främsta betänkligheter?

CHMP ansåg att huvudstudien inte räckte till för att bevisa Bosatrias effekt för att minska behovet av kortikosteroidbehandling. CHMP ansåg dessutom att den metod som företaget använde för att kvantifiera de olika formerna av den aktiva substansen i läkemedlet inte var lämplig. Vid tidpunkten för återkallandet ansåg CHMP därför att fördelarna med Bosatria inte uppvägs riskerna vid behandling av vuxna med hypereosinofilt syndrom som saknar fusionsgenen FIP1L1-PDGFR för att minska eller eliminera behovet av kortikosteroidbehandling samt för att minska antalet eosinofiler i blodet.

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 programmes) med Bosatria?

Företaget har informerat CHMP om att Bosatria kommer att finnas tillgängligt för patienter som deltar i den öppna förlängningsstudien och i humanitära program (compassionate use programmes). 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.

Sammanfattningen av yttrandet om Bosatria från Kommittén för särlekemedel finns [här](#).