



London den 22 oktober 2009
Dok.ref. EMEA/745167/2009
EMA/H/C/994

**Frågor och svar om återkallandet av ansökan om godkännande för försäljning
för
Opaxio
*paklitaxelpoliglumex***

Den 21 september 2009 anmälde CTI Life Sciences Ltd officiellt till Kommittén för humanläkemedel (CHMP) att man önskar dra tillbaka sin ansökan om godkännande för försäljning av Opaxio som första linjens behandling av patienter med avancerad icke småcellig lungcancer och ECOG performance status 2.

Vad är Opaxio?

Opaxio är ett pulver till infusionsvätska, lösning (ges som dropp i en ven). Den aktiva substansen är paklitaxelpoliglumex.

Vad skulle Opaxio användas för?

Opaxio skulle användas för patienter med avancerad icke småcellig lungcancer och ECOG performance status 2. ECOG performance status är ett mått på hur sjuk en cancerpatient är. Performance status 2 innebär att patienten kan klara sig själv utan hjälp men är för sjuk för att arbeta.

Hur är det tänkt att Opaxio ska verka?

Den aktiva substansen i Opaxio, paklitaxelpoliglumex, förväntas omvandlas till paklitaxel i cancercellerna. Paklitaxel verkar genom att blockera cancercellernas förmåga att bryta ner det inre "skelett" som gör att de kan dela sig och förökas. Med ett intakt skelett kan cellerna inte dela sig, och de dör så småningom.

Paklitaxel är ett cancerläkemedel som har funnits i EU sedan 1993. I Opaxio är paklitaxel fäst vid poliglumex för att göra det lösligare.

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

Opaxios effekter testades först i experimentmodeller innan de studerades på människor. Företaget presenterade resultaten från en huvudstudie som omfattade 477 patienter med avancerad icke småcellig lungcancer och performance status 2. I denna studie jämförde man Opaxio med gemcitabin eller vinorelbin (två andra cancerläkemedel). Det viktigaste effektmåttet var hur länge patienterna levde.

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 utvärderat 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 sammanställer en frågelista (dag 120), vilken skickas till företaget. När företaget har svarat på frågorna går CHMP igenom svaren och kan ställa fler frågor (dag 180) innan man avger sitt yttrande. Efter CHMP:s yttrande tar det oftast omkring två månader för Europeiska kommissionen att fatta beslut om yttrandet.

Vad rekommenderade CHMP vid den tidpunkten?

Baserat på granskningen av data och företags svar på CHMP:s frågelista hyste CHMP vid tiden för återkallandet vissa betänkligheter och ansåg preliminärt att Opaxio inte hade kunnat godkännas som första linjens behandling av patienter med avancerad icke småcellig lungcancer och ECOG performance status 2.

Vilka var CHMP:s främsta betänkligheter?

CHMP anmärkte att huvudstudien inte visade att Opaxio hade effekt på patienter med avancerad icke småcellig lungcancer och ECOG performance status 2. Företagets ståndpunkt att studien visade att Opaxio var minst lika bra som jämförelseläkemedlen godtogs inte av kommittén eftersom det inte klart framkom att jämförelseläkemedlen själva hade någon effekt hos den typ av patienter som ingick i huvudstudien. Studierna visade inte heller att Opaxio hade bättre effekt än de två jämförelseläkemedlen.

CHMP hyste också betänkligheter rörande biverkningar av läkemedlet, särskilt neuropati (skada på nerverna) och oförklarliga dödsfall. Man hyste även betänkligheter om föroreningar i läkemedlet och om det sätt varpå paklitaxel frisätts och distribueras i kroppen när Opaxio ges.

Vilka skäl angav företaget till att dra tillbaka sin ansökan?

Företagets skrivelse till CHMP om 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 Opaxio?

Företaget har informerat CHMP om att återkallandet inte får några följder för patienter i Europeiska unionen (EU) eftersom det för närvarande inte pågår några kliniska prövningar eller humanitära program inom EU.

Utanför EU pågår dock för närvarande studier av Opaxio vid flera cancerformer, t.ex. cancer i äggstockar, matstrupe och vid icke småcellig lungcancer.