

27 maj 2016
EMA/358774/2016
EMA/H/C/003978

Frågor och svar

Återkallande av ansökan om godkännande för försäljning av Opsiria (sirolimus)

Den 20 maj 2016 underrättade Santen Oy officiellt Europeiska läkemedelsmyndighetens kommitté för humanläkemedel (CHMP) om att de önskar återkalla sin ansökan om godkännande för försäljning av Opsiria, som var avsett för behandling av icke-infektiös uveit.

Vad är Opsiria?

Opsiria är ett läkemedel som innehåller den aktiva substansen sirolimus. Det var tänkt att finnas som lösning som skulle injiceras i ögat.

Vad skulle Opsiria användas för?

Opsiria skulle användas för behandling av icke-infektiös uveit (inflammation i uvea, det mellersta skiktet i ögat) hos vuxna. Inflammationen kan orsaka obehag, smärtor och dimsyn och kan leda till total eller partiell blindhet.

Opsiria klassificerades den 30 augusti 2011 som ett sällsynt läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) avsett att användas vid kronisk icke-infektiös uveit. Mer information finns här: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Hur var det tänkt att Opsiria skulle verka?

Den aktiva substansen i Opsiria, sirolimus, skulle verka genom att blockera ett enzym kallat "mammalian target of rapamycin" (mTOR). Eftersom mTOR medverkar i aktivering och spridning av T-lymfocyter (vita blodkroppar som deltar i inflammationsprocessen) förväntas sirolimus minska inflammationen vid kronisk icke-infektiös uveit.

Sirolimus har använts under flera år för att förhindra organavstötning efter transplantation.

Vad har företaget lämnat in som stöd för sin ansökan?

Opsiria har undersökts i en huvudstudie på 347 patienter med icke-infektiös uveit. I denna studie jämfördes inte Opsiria med någon annan behandling. Det viktigaste effektmåttet var antalet patienter vars inflammation hade gett med sig efter fem månaders behandling.

Hur långt hade utvärderingen kommit när ansökan drogs tillbaka?

Ansökan drogs tillbaka efter att CHMP hade utvärderat den dokumentation som företaget lämnat in och sammanställt en frågelista. Vissa frågetecken kvarstod när CHMP hade utvärderat företagets svar på den sista omgången frågor.

Vad rekommenderade CHMP vid den tidpunkten?

Efter genomgång av de inlämnade uppgifterna och företagets svar på CHMP:s frågelista hyste CHMP vid tidpunkten för återkallandet vissa betänkligheter och ansåg preliminärt att Opsiria inte skulle ha kunnat godkännas för behandling av icke-infektiös uveit. Data från kliniska studier var inte tillräckliga för att visa nytta med Opsiria, särskilt hos patienter inom EU. Kommittén ifrågasatte också den föreslagna metoden för sterilisering av läkemedlet.

Vid tidpunkten för återkallandet ansåg CHMP därför att nytta med Opsiria inte övervägde riskerna.

Vilka skäl angav företaget till att dra tillbaka sin ansökan?

I sin skrivelse till myndigheten om återkallandet av ansökan godtog företaget att ytterligare data från en pågående klinisk studie måste inlämnas avseende nytta med Opsiria.

Företagets skrivelse om återkallandet av ansökan finns [här](#).

Vilka följder får återkallandet för patienter som deltar i kliniska prövningar?

Företaget informerade CHMP om att återkallandet inte får några följder för patienter som för närvarande deltar i kliniska prövningar med Opsiria.

Om du deltar i en klinisk prövning och vill få mer information om din behandling kan du kontakta den läkare som ger dig läkemedlet.