



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

22 mars 2024  
EMA/122577/2024  
EMA/H/C/005782/WS2552

## Återkallande av ansökan om ändring av godkännande för försäljning av Ontilyv (opikapon)

BIAL återkallade sin ansökan om användning av Ontilyv för behandling av tecken och symtom på Parkinsons sjukdom.

Företaget återkallade sin ansökan den 12 mars 2024.

### Vad är Ontilyv och vad används det för?

Ontilyv används för att behandla vuxna med Parkinsons sjukdom, en gradvis tilltagande hjärnsjukdom som orsakar skakningar, muskelstelhet och långsamma rörelser.

Ontilyv ges som tillägg till levodopa/DOPA-dekarboxylashämmare (andra läkemedel mot Parkinsons sjukdom) till patienter med motoriska fluktuationer i kontrollen av sin sjukdom. Fluktuationer sker när läkemedlets effekter avtar och symtomen kommer tillbaka innan nästa dos ska ges. Ontilyv används när dessa fluktuationer inte kan behandlas med enbart de standardkombinationer som innehåller levodopa.

Ontilyv har varit godkänt i EU sedan juni 2016.

Det innehåller den aktiva substansen opikapon och finns som kapslar som ska tas genom munnen.

Mer information om Ontilyvs nuvarande användningar finns på EMA:s webbplats:

[ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/Ontilyv](https://ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/Ontilyv)

### Vilken ändring hade företaget ansökt om?

Företaget ansökte om att utvidga användningen av Ontilyv för att behandla tecken och symtom på Parkinsons sjukdom, vilket innebär att dess användning som tillägg till levodopa/DOPA-dekarboxylashämmare skulle utökas till en bredare grupp patienter, däribland patienter med Parkinsons sjukdom i ett tidigt stadium. Det skulle inte längre begränsas till patienter med (motoriska) fluktuationer i kontrollen av sitt tillstånd.



## Hur verkar Ontilyv?

Hos patienter med Parkinsons sjukdom börjar de celler som producerar signalsubstansen dopamin att dö och mängden dopamin i hjärnan minskar. Därefter förlorar patienterna förmågan att kontrollera sina rörelser. Den aktiva substansen i Ontilyv, opikapon, verkar genom att återställa nivåerna av dopamin i de delar av hjärnan som kontrollerar rörelserna och koordinationen. Den förstärker effekten av levodopa, en kopia av signalsubstansen dopamin som kan tas genom munnen. Opikapon blockerar ett enzym som medverkar till att bryta ned levodopa i kroppen och kallas katekol-O-metyltransferas (COMT). Detta gör att levodopa förblir aktivt under längre tid. Det gör också att symtomen vid Parkinsons sjukdom, t.ex. stelhet och långsamma rörelser, förbättras.

## Vad har företaget lämnat in som stöd för sin ansökan?

Företaget lade fram data från en studie på 355 patienter med Parkinsons sjukdom i ett tidigt stadium som fick antingen Ontilyv eller placebo (overksam behandling) som tillägg till levodopa/DOPA-dekarboxylashämmare. Patienterna i studien hade inga tecken på några motoriska komplikationer (dvs. fluktuationer i svar på behandling eller ofrivilliga rörelser). Huvudeffektmåttet var en förbättring av de motoriska symtomen, vilket mättes med hjälp av standardskalan Moving Disorder Society-Unified Parkinson's Disease Rating Scale (MDS-UPDRS).

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

Ansökan drogs tillbaka efter det att Europeiska läkemedelsmyndigheten hade utvärderat informationen från företaget och sammanställt en frågelista. Vissa frågetecken kvarstod när EMA hade utvärderat företagets svar på frågorna.

## Vad rekommenderade myndigheten vid den tidpunkten?

Efter genomgång av de inlämnade uppgifterna och företagets svar på EMA:s frågor hyste EMA vid tidpunkten för återkallandet vissa betänkligheter och ansåg preliminärt att Ontilyv inte skulle ha kunnat godkännas för behandling av tecken och symtom på Parkinsons sjukdom i ett tidigt stadium.

EMA noterade att uppgifterna om Ontilyvs effekt inte var tillräckligt robusta och endast tydde på att läkemedlet hade en liten effekt på MDS-UPDRS-poängen och andra effektmått. Det var därför inte klarlagt om patienter med lindriga symtom på Parkinsons sjukdom i ett tidigt stadium skulle ha nytta av behandling med Ontilyv.

Vid tidpunkten för återkallandet ansåg myndigheten därför att fördelarna med Ontilyv inte var större än riskerna, eftersom effektiviteten inte kunde bevisas vid en bredare användning.

## Vilka skäl angav företaget till att dra tillbaka sin ansökan?

I [skrivelsen](#) till myndigheten om att ansökan återkallas uppgav företaget att de drog tillbaka sin ansökan eftersom de behövde utföra ytterligare arbete för att fullt ut kunna besvara de frågor som myndigheten ställt.

## Påverkar detta återkallande patienter som deltar i kliniska prövningar?

Företaget informerade myndigheten om att återkallandet inte får några följder för patienter som deltar i kliniska prövningar med Ontilyv.

Om du deltar i en klinisk prövning och behöver mer information om din behandling kan du kontakta läkaren i den kliniska prövningen.

### **Vad händer med Ontilyv vid dess godkända användning?**

Återkallandet får inga följder för de godkända användningarna av Ontilyv.