



European Medicines Agency

London den 20 mars 2007
Dok. ref. EMEA/129723/2007

**FRÅGOR OCH SVAR OM REKOMMENDATIONEN ATT AVSLÅ ANSÖKAN OM
GODKÄNNANDE FÖR FÖRSÄLJNING
av
MYCOGRAB**

Internationellt generiskt namn (INN): *efungumab*

Den 16 november 2006 antog Kommittén för humanläkemedel (CHMP) ett negativt yttrande med rekommendationen att avslå godkännandet för försäljning av läkemedlet Mycograb 2 mg/ml pulver till injektionsvätska, lösning, för behandling av invasiv candidainfektion hos vuxna patienter i kombination med amfotericin B eller en lipidformulering av amfotericin B.

Företaget som ansökte om godkännande för försäljning är NeuTec Pharma plc. Den sökande begärde omprövning av yttrandet. Efter att ha beaktat grunderna för begäran omprövade CHMP det ursprungliga yttrandet och bekräftade den 20 mars 2007 rekommendationen att avslå ansökan om godkännande för försäljning.

Vad är Mycograb?

Mycograb är ett vitt pulver som innehåller det aktiva innehållsämnet efungumab. Pulvret ska lösas i sterilt vatten innan det injiceras i en ven.

Vad skulle Mycograb användas för?

Mycograb var avsett att användas tillsammans med amfotericin B (ett annat läkemedel mot svamp) för att behandla vuxna patienter med candidainfektion. Denna sjukdom orsakas av infektion med vanliga svampceller (jäst) som kallas *Candida*. Vid invasiv candidainfektion sprider sig svampinfektionen till inre organ som lever, mjälte och njurar via blodomloppet. Invasiv candidainfektion är en livshotande sjukdom.

Eftersom antalet patienter med invasiv svampinfektion är litet klassificerades Mycograb som sällsläkemedel (ett läkemedel som används för sällsynta sjukdomar) den 5 december 2001.

Hur är det tänkt att Mycograb ska verka?

Det aktiva innehållsämnet i Mycograb, efungumab, är ett ämne som motverkar svamp. Det är utformat för att fästa till ett visst protein på svampcellers yta, hsp90 (Heat Shock Protein 90), som deltar i bildning och reparation av svampcellernas cellvägg och är nödvändigt för svampcellernas överlevnad. Genom att fästa till hsp90 blockerar efungumab proteinets normala funktion. Detta försvagar svampcellernas cellvägg och gör cellerna sköra och oförmögna att växa.

Efungumab framställs med rekombinant DNA-teknik, vilket innebär att en bakterie har fått en gen (DNA) som gör att den kan producera ämnet.

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

Effekterna av Mycograb prövades först i olika experimentmodeller innan de studerades på människor. Huvudstudien av läkemedlets effekt omfattade 139 vuxna med invasiv candidainfektion. Studien jämförde effekten av Mycograb med effekten av placebo (skenbar behandling) då antingen Mycograb eller placebo gavs tillsammans med amfotericin B i 5 dagar. Effekten mättes som procentandelen patienter som svarade på behandlingen, baserat på förbättring av symptomen (inbegripet feber) och eliminering av svamp från proverna mätt på dag 10 (5 dagar efter det att behandlingen med Mycograb eller placebo hade avslutats).

7 Westferry Circus, Canary Wharf, London E14 4HB, England
Tel. +44 207 418 84 00 Fax +44 207 418 84 16

E-post: mail@emea.europa.eu <http://www.emea.europa.eu>

Vad var det som huvudsakligen fick CHMP att rekommendera att avslå godkännandet för försäljning?

I november 2006 uttryckte CHMP farhågor rörande vissa aspekter av läkemedlets kvalitet (t.ex. hur efungumabmolekylerna kan veckas eller aggregeras i injektionsvätskan samt halten av vissa ämnen som skulle kunna stimulera immunsvaret hos patienterna). Kommittén uttryckte också tveksamhet när det gällde Mycograb's säkerhet. Läkemedlet är förenat med cytokinfrisättningssyndromet, ett tillstånd som kan orsaka illamående, kräkningar, smärta och även hypertension (högt blodtryck), men orsaken till kopplingen är inte klar. Alltför få patienter har fått Mycograb för att det ska finnas underlag för att bedöma läkemedlets säkerhet.

I mars 2007, efter omprövningen, ansåg CHMP inte längre att det fanns skäl till farhågor för cytokinfrisättningssyndrom och hypertension, eftersom dessa tillstånd skulle kunna hanteras kliniskt. Övriga skäl till oro kvarstod dock.

Vid denna tidpunkt ansåg kommittén att nyttan med Mycograb vid behandling av invasiv candidainfektion inte uppvägde riskerna. Sålunda rekommenderade CHMP att Mycograb inte skulle godkännas för försäljning.

Vad får avslaget för konsekvenser för patienter som deltar i kliniska prövningar eller i humanitära program där Mycograb används?

Företaget meddelade CHMP att avslaget inte får några konsekvenser för patienter som ingår i kliniska prövningar eller i humanitära program med Mycograb. Om du deltar i en klinisk prövning eller i ett humanitärt program och vill ha mer information om din behandling kontaktar du den läkare som ger dig läkemedlet.