



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

19 april 2012
EMA/CHMP/255106/2012
EMA/H/C/002096

Frågor och svar

Avslag för godkännande för försäljning av Folutyn (pralatrexat)

Resultat av omprövning

Den 19 januari 2012 antog Kommittén för humanläkemedel, CHMP, ett negativt yttrande med rekommendationen att avslå ansökan om godkännande för försäljning av läkemedlet Folutyn, avsett för behandling av perifert T-cellslymfom. Företaget som ansökte om godkännandet är Allos Therapeutics Limited.

Den sökande begärde omprövning av yttrandet. Efter att ha beaktat grunderna för begäran omprövade CHMP det ursprungliga yttrandet och bekräftade den 19 april 2012 sin rekommendation att avslå ansökan om godkännande för försäljning.

Vad är Folutyn?

Folutyn är ett läkemedel som innehåller den aktiva substansen pralatrexat. Det finns som en infusionsvätska, lösning (dropp i en ven).

Vad skulle Folutyn användas för?

Folutyn var avsett att användas för behandling av vuxna med perifert T-cellslymfom, en cancer i en typ av vita blodkroppar som kallas T-celler.

Folutyn klassificerades den 13 april 2007 som ett säräkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) avsett att användas vid behandling av perifert T-cellslymfom.

Hur var det tänkt att Folutyn skulle verka?

Pralatrexat är ett antimetabolit-läkemedel. I kroppen skulle det ersätta folsyra och fästa vid ett enzym som kallas dihydrofolatreduktas (DHFR). DHFR är nödvändigt för produktionen av nytt DNA, vilket



cellerna behöver för att dela och föröka sig. Genom att fästa vid DHFR förväntas pralatrexat blockera enzymets verkan, hämma cancercellernas delning och slutligen döda dem.

Vad har företaget lämnat till stöd för sin ansökan?

Effekterna av Folutyn prövades först i olika experimentmodeller innan de studerades på människor.

Företaget lämnade in resultaten av en huvudstudie som innefattade totalt 115 vuxna med perifert T-cellslymfom som återkom flera gånger eller inte som svarade på tidigare behandlingar. Patienterna fick Folutyn tillsammans med tillskott av B12-vitamin och folsyra (för att kompensera för bristen på dessa vitaminer som inträffar under behandling med Folutyn). Huvudmättet på effekt var baserat på andelen patienter som svarade på behandling. Svaret på behandling varierade från sjukdomsförbättringar till inga tecken på cancer. I denna studie jämfördes inte Folutyn med någon annan behandling.

Vad var det som främst fick CHMP att rekommendera avslag av ansökan?

I januari 2012 hyste CHMP betänkligheter om att huvudstudien var utformad på ett sätt som inte gjorde det möjligt för kommittén att bedöma nyttan med läkemedlet, särskilt eftersom Folutyn inte jämfördes med någon annan behandling eller placebo (overksam behandling) i en annan grupp patienter. Dessutom sågs ingen tydlig förbättring i patienternas tillstånd, då studien undersökte patienternas svar på behandling men inte gjorde det möjligt för kommittén gå vidare med att bedöma effekten på total överlevnad (hur länge patienterna levde) eller progressionsfri överlevnad (hur länge patienterna levde utan att deras sjukdom förvärrades). CHMP ansåg att det fanns otillräckliga bevis för att fastställa nyttan med Folutyn vid behandling av perifert T-cellslymfom. Därför fann CHMP vid denna tidpunkt att nyttan med Folutyn inte är större än riskerna och rekommenderade att ansökan om godkännande för försäljning skulle avslås.

Under omprövningen i april 2012 besvarades inte CHMP:s invändningar. Kommittén fann i synnerhet att de uppgifter som sökanden lämnat in var otillräckliga för att fastställa nyttan med Folutyn vid behandling av perifert T-cellslymfom. CHMP bekräftade därför sitt första negativa yttrande.

Vilka följder får avslaget för patienter i kliniska prövningar eller i program för användning av humanitära skäl ("compassionate use")

Företaget informerade CHMP om att återkallandet inte får några följder för patienter som för närvarande deltar i kliniska prövningar eller s.k. compassionate use-program med Folutyn. Om du deltar i en klinisk prövning eller ett s.k. compassionate use-program och vill få mer information om din behandling kan du kontakta den läkare som ger dig läkemedlet.

Sammanfattningen av ställningstagandet om Folutyn från Kommittén för sär läkemedel finns på EMA:s webbplats: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).