



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

25. kesäkuuta 2021
EMA/354062/2021EMA/382746/2021
EMA/H/C/002154/II/0069

Esbrietin (pirfenidoni) myyntiluvan muutosta koskevan hakemuksen peruuttaminen

Roche Registration GmbH peruutti hakemuksensa, joka koski Esbrietin käyttöä sellaisen interstitiaalisen keuhkosairauden hoidossa, jota ei voida luokitella.

Yhtiö peruutti hakemuksen 19. toukokuuta 2021.

Mitä Esbriet on ja mihin sitä käytetään?

Esbriet on lääke, jolla hoidetaan lievää tai keskivaikeaa idiopaattista keuhkofibroosia (IPF) sairastavia aikuisia. Idiopaattinen keuhkofibroosi on pitkäaikainen sairaus, jossa keuhkoihin muodostuu jatkuvasti säikeistä arpikudosta, mikä aiheuttaa jatkuvaa yskää, toistuvia tulehduksia keuhkoissa ja voimakasta hengenahdistusta. Idiopaattinen tarkoittaa, että sairauden syy on tuntematon.

Esbrietillä on ollut myyntilupa EU:ssa helmikuusta 2011 lähtien.

Sen vaikuttava aine on pirfenidoni, ja sitä on saatavana suun kautta otettavina kapseleina ja tabletteina.

Lisätietoja Esbrietin nykyisistä käyttöaiheista on viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/esbriet.

Mitä muutosta yhtiö haki?

Yhtiö haki Esbrietin käyttöaiheiden laajentamista sellaisiin potilaisiin, joilla on interstitiaalinen keuhkosairaus, jota ei voida luokitella. Interstitiaalinen keuhkosairaus (ILD) tarkoittaa ryhmää sairauksia, jotka aiheuttavat keuhkojen arpeutumista. Noin 10 prosentilla potilaista sairauteen liittyy ominaisuuksia, joiden vuoksi sitä ei voida luokitella ILD:n spesifisiin alaryhmiin, ja siihen viitataan sen vuoksi ILD:nä, jota ei voida luokitella (UIILD).

Miten Esbriet vaikuttaa?

Esbrietin vaikuttavan aineen pirfenidonin vaikutusmekanismia ei täysin tunneta. Sen on kuitenkin osoitettu vähentävän fibroblastien ja muiden säikeisen kudoksen (arpikudoksen) muodostukseen



osallistuvien aineiden tuotantoa (elimistö tuottaa näitä aineita korjatessaan kehon kudoksia), mikä hidastaa idiopaattisen keuhkofibroosin etenemistä.

UILD:n hoidossa Esbrietin odotetaan vaikuttavan samalla tavalla kuin nykyisissä käyttöaiheissa.

Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?

Yhtiö esitti tulokset päätutkimuksesta, johon osallistui 253 UILD-potilasta, joille annettiin joko Esbrietä tai lumelääkettä. Tehon pääasiallisena mittana oli nopean vitaalikapasiteetin (FVC) muutos potilaiden keuhkojen toiminnassa 24 hoitoviikon jälkeen. FVC on enimmäismäärä ilmaa, jonka henkilö syvän sisäänhengityksen jälkeen pystyy hengittämään voimakkaasti ulos. FVC-arvo pienenee sairauden pahentuessa.

Miten pitkällä hakemuksen arviointi oli, kun se peruutettiin?

Hakemus peruutettiin sen jälkeen, kun lääkevalmistekomitea oli arvioinut yhtiön alkuvaiheessa toimittamat asiakirjat ja laatinut luettelon kysymyksistä. Yhtiö ei ollut vielä vastannut näihin kysymyksiin, kun hakemus peruutettiin.

Mikä oli lääkevalmistekomitean suositus tuolloin?

Lääkevalmistekomitea suhtautui saamiensa tietojen tarkastelun perusteella varauksellisesti joihinkin seikkoihin hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, ja sen alustava kanta oli, että Esbrietä ei olisi voitu hyväksyä UILD:n hoitoon. Virastolla oli erityisesti huolenaiheita tietojen luotettavuudesta ja päätutkimuksen kestosta. Virasto ei myöskään hyväksynyt ehdotetun käyttöaiheen sanamuotoa.

Siksi virasto katsoi hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, että Esbrietistä saatava hyöty ei ole sen riskejä suurempi UILD:n hoidossa.

Mistä syistä yhtiö peruutti hakemuksen?

[Kirjeessään](#), jossa yhtiö ilmoittaa virastolle hakemuksen peruuttamisesta, se toteaa peruuttamisen perustuvan siihen, että virasto edellyttää lisää näyttöä ja tietoja Esbrietin käytöstä ehdotetussa käyttöaiheessa.

Mitä seurauksia tämän hakemuksen peruuttamisesta on kliinisiin tutkimuksiin osallistuvilla potilaille?

Yhtiö ilmoitti virastolle, että peruuttamisesta ei ole mitään seurauksia potilaille, jotka osallistuvat Esbrietä koskeviin kliinisiin tutkimuksiin.

Jos olet mukana kliinisessä tutkimuksessa ja tarvitset lisätietoa hoidostasi, ota yhteyttä kliinisen tutkimuksen lääkäriin.

Mitä tapahtuu Esbrietin käytölle muiden sairauksien hoidossa?

Esbrietin käytölle idiopaattisen keuhkofibroosin hoidossa ei koidu peruuttamisesta mitään seurauksia.