



Kysymyksiä ja vastauksia myyntilupahakemuksen peruuttamisesta

Lääkevalmiste: Vorinostat MSD

Kansainvälinen yleisnimi (INN): *vorinostaatti*

Merck Sharp & Dohme Limited ilmoitti 13.2.2009 virallisesti lääkevalmistekomitealle (CHMP) päätöksestään peruuttaa Vorinostat MSD -lääkevalmistetta koskeva myyntilupahakemuksensa, jonka käyttöaihe oli aikuisten pitkälle edenneen ihon T-solulymfooman hoito. Vorinostat MSD nimettiin harvinaislääkkeeksi 21.6.2004.

Mitä Vorinostat MSD on?

Vorinostat MSD on lääkevalmiste, jonka vaikuttava aine on vorinostaatti. Sitä oli tarkoitus myydä kapseleina.

Mihin Vorinostat MSD:tä aiottiin käyttää?

Vorinostat MSD:tä oli tarkoitus käyttää aikuisten pitkälle edenneen ihon T-solulymfooman (CTCL) hoidossa. CTCL on harvinainen lymfooman tyyppi (imukudossyöpä), jossa valkosoluja (T-solut) kasvaa ihossa. Tarkoituksena oli antaa Vorinostat MSD:tä potilaille, joiden syöpä oli etenevä, hoitoon vastaamaton tai uusiutuva, eikä ollut vastannut vähintään kahteen muuhun systeemiseen (koko kehon) hoitoon.

Miten Vorinostat MSD:n odotettiin vaikuttavan?

Vorinostat MSD:n vaikuttava aine, vorinostaatti, estää histoni deasetylaasi -nimisten proteiinien toiminnan. Nämä proteiinit osallistuvat solussa geenien toiminnan aktivointiin tai passivointiin. Ihon T-solulymfoomassa Vorinostat MSD:n oli tarkoitus pysäyttää niiden geenien toiminta, jotka estävät syöpäsolujen jakautumisen ja kasvamisen tiettyinä ajankohtina tapahtuvan passivoinnin. Tämän oletettiin johtavan vähentyneeseen T-solujen määrään ja jakautumiseen.

Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevalmistekomitealle hakemuksensa tueksi?

Vorinostat MSD:n vaikutuksia testattiin ensin kokeellisissa malleissa ennen ihmisillä tutkimista. Lääkeyhtiö esitti tulokset yhdestä päätutkimuksesta, jossa 74:lle edennyttä CTCL:ää sairastavalle aikuiselle annettiin Vorinostat MSD:tä. Kaikilla potilailla oli etenevä, hoitoon vastaamaton tai uusiutuva tauti ja he olivat aiemmin saaneet kahta muuta systeemistä hoitoa. Vorinostat MSD:tä ei verrattu mihinkään muuhun hoitoon. Tehon pääasiallisena mittana olivat taudin leviäminen iholla ja leesioiden vakavuusaste.

Miten pitkällä hakemuksen arviointi oli, kun se peruutettiin?

Hakemusta oli käsitelty 206 päivää, kun lääkeyhtiö peruutti sen. Lääkevalmistekomitean arvioitua yhtiöltä kysymysluettelon saamansa vastaukset jäljelle jäi vielä joitakin ratkaisemattomia kysymyksiä.

Lääkevalmistekomitealta kuluu yleensä jopa 210 päivää *uuden hakemuksen* arvioimiseen. Se laatii 120 päivän kuluessa yhtiölle lähetettävän kysymysluettelon alkuvaiheessa toimitettujen asiakirjojen tarkastuksen perusteella. Sen jälkeen, kun yhtiö on vastannut kysymyksiin lääkevalmistekomitea tarkistaa vastaukset ja saattaa ennen lausunnon antamista pyytää vastaukset jäljelle jääneisiin kysymyksiin 180. päivänä. Lääkevalmistekomitean lausunnon jälkeen Euroopan komissiolta kuluu yleensä noin kaksi kuukautta myyntiluvan myöntämiseen.

Mikä oli lääkevalmistekomitean suositus tuolloin?

Saamiensa tietojen ja lääkeyhtiön lääkevalmistekomitean kysymyslistaan antamien vastausten tarkastelun perusteella komitea suhtautui varauksellisesti joihinkin seikkoihin hakemuksen peruuttamisen ajankohtana. Sen alustava mielipide oli, ettei Vorinostat MSD -lääkevalmistetta olisi voitu hyväksyä edenneen CTCL:n hoitoon.

Mitkä olivat lääkevalmistekomitean tärkeimmät huolenaiheet?

Komitean huolenaiheena oli tapa, jolla päätutkimus oli suunniteltu. Koska Vorinostat MSD -hoitoa ei verrattu toiseen hoitoon, sen turvallisuutta ja tehokkuutta ei voitu arvioida riittävästi. Tämän lisäksi tutkimuksessa ei tarkasteltu potilaiden eloonjäämisaikaa. CHMP oli erityisesti huolissaan Vorinostat MSD:tä saavien potilaiden tromboembolisten tapahtumien (ongelmat, jotka aiheutuvat hyytymien muodostumisesta verisuonissa) riskistä.

Tämän vuoksi lääkevalmistekomitea katsoi hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, että Vorinostat MSD:stä ei ollut osoitettu olevan riittävästi hyötyä eikä hyöty ollut havaittuja riskejä merkittävämpi.

Mistä syistä yhtiö peruutti hakemuksen?

Läakeyhtiön kirje, jossa se ilmoittaa EMEAlle hakemuksen peruuttamisesta, on [tässä](#).

Mitä seurauksia peruutuksesta on potilaille, jotka osallistuvat Vorinostat MSD:n kliinisiin kokeisiin tai erityiskäyttöohjelmiin?

Yhtiö on ilmoittanut lääkevalmistekomitealle, ettei peruuttamisesta ole mitään seurauksia potilaille, jotka osallistuvat Vorinostat MSD:tä koskeviin kliinisiin tutkimuksiin, erityiskäyttöohjelmiin tai erityisiin potilasohjelmiin.

Jos olet mukana kliinisessä tutkimuksessa, erityiskäyttöohjelmassa tai erityisessä potilasohjelmassa ja tarvitset lisätietoja hoidostasi, ota yhteyttä sinua hoitavaan lääkäriin.