



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

18.maaliskuuta 2010
EMA/152214/2010
EMA/H/C/1103

Kysymyksiä ja vastauksia

Cerepro (sitimageeniseradenoveekki) – nimisen lääkevalmisteen myyntilupahakemuksen peruuttaminen

Ark Therapeutics ilmoitti 8. maaliskuuta 2010 virallisesti lääkevalmistekomitealle (CHMP) päätöksestään peruuttaa Cereproa koskevan myyntilupahakemuksensa. Kyseistä valmistetta oli tarkoitus käyttää yhdessä gansikloviirinatriumin kanssa potilailla, jotka sairastavat leikattavissa olevaa pahanlaatuista glioomaa.

Mitä Cerepro on?

Cerepro on konsentraatti injektiooliuosta varten, joka sisältää vaikuttavana aineena sitimageeniseradenoveekkia.

Cerepro on eräs kehittyneissä hoitomuodoissa käytettävä geenihoidon lääke. Tällaiset lääkkeet vaikuttavat kuljettamalla geenejä elimistöön.

Mihin Cereproa oli tarkoitus käyttää?

Cereproa oli tarkoitus käyttää yhdessä gansikloviirinatrium-nimisen lääkkeen kanssa pahanlaatuisen gliooman hoidossa potilailla, jotka voidaan leikata. Gliooma on gliosoluista (aivojen hermosoluja ympäröivät ja niitä tukevat solut) alkunsa saanut kasvain.

Cerepro määritettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisissa sairauksissa käytettävä lääke) 6. helmikuuta 2002 pahanlaatuisen gliooman hoitoa varten.

Miten Cerepron odotettiin vaikuttavan?

Cerepron vaikuttava aine, sitimageeniseradenoveekki, on virustyyppi, jota on muunneltu siten, että se voi kuljettaa tymidiinikinaasiproteiinin geeniä elimistöön. Cerepron sisältämä virus on ns. adenovirus, jota on muunneltu niin, että se ei voi monistaa itseään eikä siten aiheuta infektioita ihmiselle.

Kun Cereproa injektoidaan aivoihin leikkauksen aikana, injektiokohdan lähellä olevat solut vastaanottavat muunnetun viruksen, ja solut alkavat tuottaa tymidiinikinaasia. Tämän proteiinin



odotettiin edistävän gansikloviirinatriumin muuttumista muotoon, joka tappaisi jakautumassa olevia soluja. Solut, joita gansikloviirinatriumin oli määrä tappaa, olivat pääasiassa nopeasti jakautuvia syöpäsoluja. Tavallisten hermosolujen ja kasvaimen ulkopuolella olevien solujen odotettiin vahingoittuvan vähemmän.

Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt hakemuksensa tueksi?

Cerepron vaikutuksia testattiin ensin koemalleissa ennen kuin kokeita tehtiin ihmisillä. Yhtiö toimitti myös tietoa yhdestä päätutkimuksesta, jossa oli mukana 251 leikattavissa olevaa glioomaa sairastavaa potilasta. Tutkimuksessa Cereprolla ja gansikloviirinatriumilla täydennetyt standardihoidon vaikutuksia verrattiin pelkän standardihoidon vaikutuksiin. Tehokkuuden pääasiallinen mitta oli ajanjakso, joka kului ilman tarvetta lisähoitoon potilaan elinajan pidentämiseksi. Tutkimuksessa tarkasteltiin myös sitä, miten kauan potilaat elivät hoidon jälkeen.

Miten pitkällä hakemuksen arviointi oli sen peruuttamishetkellä?

Arviointi oli päättynyt ja lääkevalmistekomitea oli antanut kielteisen lausunnon. Yhtiö oli pyytänyt kielteisen lausunnon uudelleen käsittelyä, joka ei ollut vielä alkanut sen peruuttaessa hakemuksensa.

Mikä oli lääkevalmistekomitean suositus tuolloin?

Koska Cerepro on kehittyneissä hoidoissa käytettävä lääke, sen arvioinnin suoritti kehittyneitä hoitoja käsittelevä komitea (CAT). Ottaen huomioon kehittyneitä hoitoja käsittelevän komitean tekemän arvioinnin lääkevalmiste komitea katsoi, että päätutkimuksen tulosten perusteella, mukaan lukien tehokkuuden pääasiallinen mitta, Cerepron ei osoitettu olevan tehokas. Cereproon liittyi myös lisääntynyt vakavien sivuvaikutusten kuten hemipareesin (toispuolinen osittainen halvaus) ja epileptisten kohtausten riski. Ottaen huomioon, että tehokkuutta ei voitu osoittaa, nämä sivuvaikutukset herättivät huolta.

Koska lääkevalmisteen tehokkuutta ei voitu osoittaa, lääkevalmistekomitean kantana oli tuolloin, että Cerepron hyödyt eivät ole sen riskejä suurempia. Komitea suositteli, että myyntilupaa ei myönnetä.

Mitkä perusteet yhtiö esitti hakemuksen peruuttamiselle?

Yhtiön kirje, jossa se ilmoittaa virastolle hakemuksen peruuttamisesta, on [tässä](#).

Mitä seurauksia peruutuksesta on potilaille, jotka osallistuvat klinisiin kokeisiin tai erityiskäyttöohjelmiin?

Yhtiö ilmoitti lääkevalmistekomitealle, että hakemuksen peruuttamisen ajankohtana Cereproa koskeviin klinisiin tutkimuksiin tai erityiskäyttöohjelmiin ei osallistunut potilaita.

Harvinaislääkekomitean Cereproa koskevan lausunnon tiivistelmä on [tässä](#).