



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

12. heinäkuuta 2012  
EMA/CHMP/483389/2012  
EMA/H/C/002427

## Kysymyksiä ja vastauksia

---

# Lääkevalmisteen Egrifta (tesamoreliini) myyntilupahakemuksen peruuttaminen

Ferrer Internacional, S.A. ilmoitti 21. kesäkuuta 2012 virallisesti lääkevalmistekomitealle (CHMP) haluavansa peruuttaa lipodystrofiaa sairastavien HIV-potilaiden vatsan alueen rasvakudoksen liikakasvun hoitoon tarkoitettua Egrifta-lääkevalmistettä koskevan myyntilupahakemuksensa.

## Mitä Egrifta on?

Egrifta on lääke, jonka vaikuttava aine on tesamoreliini. Sen oli suunniteltu tulevan markkinoille jauheena, josta valmistettaisiin injektioiliuosta.

## Mihin Egriftaa oli tarkoitus käyttää?

Egriftaa oli tarkoitus käyttää vatsan alueen rasvakudoksen liikakasvun hoitoon HIV-potilailla, jotka sairastavat lipodystrofiaa. Se on rasva-aineenvaihdunnan häiriö, joka muuttaa rasvakudoksen jakaantumista kehossa. Lipodystrofiaa tiedetään esiintyvän joillakin HIV-potilailla, ja se aiheuttaa rasvan häviämistä tietyissä kehon osissa ja joskus rasvan kertymistä vatsan alueelle.

## Miten Egriftan odotettiin vaikuttavan?

Egriftan vaikuttava aine, tesamoreliini, on samankaltainen kuin kasvuhormonia vapauttava tekijä (GRF), joka on elimistössä kasvuhormonin vapautumista edistävä hormoni. Kasvuhormonin on osoitettu vaikuttavan rasvakudoksen muodostumisen ja hajoamisen säätelyyn.

Tesamoreliinin odotetaan vaikuttavan GRF:n tavoin eli vapauttavan kasvuhormonia, jonka taas odotetaan lisäävän rasvakudoksen hajoamista lipodystrofiaa sairastavilla HIV-potilailla. Tämä vähentää liiallista rasvaa vatsan alueella.



## **Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?**

Yhtiö esitti tulokset kahdesta päätutkimuksesta. Niihin osallistui 816 HIV-potilasta, joille oli kertynyt liikaa rasvakudosta vatsan alueelle. Tutkimuksissa Egriftaa verrattiin lumelääkkeeseen, ja tehon pääasiallinen mitta oli muutos vatsan alueen rasvakudoksessa 26 hoitoviikon jälkeen.

## **Miten pitkällä hakemuksen arviointi oli sen peruuttamishetkellä?**

Hakemus peruutettiin sen jälkeen, kun lääkevalmistekomitea oli arvioinut yhtiön toimittamat asiakirjat ja laatinut kysymysluettelon. Kun lääkevalmistekomitea oli arvioinut yhtiön viimeisiin kysymyksiin antamat vastaukset, joitakin seikkoja oli vielä selvittämättä.

## **Mikä oli lääkevalmistekomitean suositus tuolloin?**

Lääkevalmistekomitea suhtautui saamiensa tietojen ja yhtiön kysymysluetteluihin antamien vastausten tarkastelun perusteella varauksellisesti joihinkin seikkoihin hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, ja sen alustava kanta oli, että Egriftaa ei olisi voitu hyväksyä lipodystrofiasta kärsivien HIV-potilaiden vatsan alueen rasvakudoksen liikakasvun hoitoon.

Lääkevalmistekomitean huolenaiheet koskivat Egriftan kliinistä käyttöä, sillä lipodystrofiasta johtuvaa vatsan alueen rasvakudoksen liikakasvua on vaikea erottaa lihavuudesta johtuvasta liiallisesta rasvasta. Lääkevalmistekomitea arvioi yhtiön esittämää ehdotusta, jonka mukaan lääkkeen käyttö rajataan potilaisiin, joiden vatsan alueen rasvakudoksen määrä ylittää tietyn arvon (määritelmän mukaan yli 130 cm<sup>2</sup>). Tätä raja-arvoa tukevaa näyttöä ei kuitenkaan pidetty riittävänä.

Vaikka päätutkimuksissa Egriftan oli osoitettu vähentävän rasvakudosta vatsan alueelta, sen ei ole osoitettu olevan kliinisesti merkittävä siltä osin, että potilaalle koituisi siitä varsinaisia terveyshyötyjä. Tulosten merkitystä pidettiin kyseenalaisena myös sen vuoksi, että päätutkimusten potilaat eivät edustaneet eurooppalaisia HIV-potilaita, joiden keskimääräinen painoindeksi on pienempi ja joilla on vähemmän rasvakudosta vatsan alueella kuin tutkimukseen osallistuneilla potilailla.

Turvallisuuden osalta lääkevalmistekomitea totesi, että insuliininkaltainen kasvutekijä I (IGF-1) -nimisen proteiinin pitoisuus lisääntyi huomattavan monilla potilailla, joita oli hoidettu Egriftalla. Suuret IGF-1-pitoisuudet saattavat liittyä suurentuneeseen syöpäriskiin ja diabeettisen silmätautiin mahdolliseen pahenemiseen, joten komitea piti tätä merkittävänä turvallisuuteen liittyvänä huolenaiheena. Valmistesta ei myöskään toimitettu pitkäaikaisia turvallisuustietoja, vaikka Egriftahoidon oli määrä olla pitkäaikaista.

Siksi lääkevalmistekomitea katsoi hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, että Egriftasta saatava hyöty ei ole sen riskejä suurempi.

## **Mistä syistä yhtiö peruutti hakemuksen?**

Virallisessa kirjeessään yhtiö ilmoitti päättäneensä peruuttaa myyntilupahakemuksen, koska lääkevalmistekomitea katsoi, ettei se voinut tehdä päätelmää myönteisestä hyöty-riskisuhteesta toimitettujen tietojen perusteella.

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

## **Mitä seurauksia tämän hakemuksen peruuttamisesta on kliinisiin tutkimuksiin tai erityiskäyttöohjelmiin osallistuvilla potilaille?**

Yhtiö on ilmoittanut lääkevalmistekomitealle, ettei peruuttamisesta ole mitään seurauksia potilaille, jotka osallistuvat Egriftaa koskeviin erityiskäyttöohjelmiin.

Jos olet mukana erityiskäyttöohjelmassa ja tarvitset lisätietoja hoidostasi, ota yhteyttä sinua hoitavaan lääkäriin.