



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

23 mars 2018
EMA/165563/2018
EMA/H/C/000332

Återkallande av ansökan om ändring av godkännande för försäljning av Aranesp (darbepoetin alfa)

Den 21 februari 2018 underrättade Amgen Europe B.V. officiellt Europeiska läkemedelsmyndighetens kommitté för humanläkemedel (CHMP) om att de önskade återkalla sin ansökan om att lägga till behandling av anemi hos vuxna patienter med myelodysplastiska syndrom till det befintliga godkännandet för försäljning.

Vad är Aranesp?

Aranesp är ett läkemedel som redan används för att behandla anemi (lågt antal röda blodkroppar) som orsakar symtom i följande grupper av patienter:

- Vuxna och barn med kronisk njursvikt (en långvarig, fortskridande försämring av njurarnas förmåga att fungera som de ska).
- Vuxna som får kemoterapi mot icke-myeloid cancer (cancer som inte börjat i benmärgen).

Aranesp har varit godkänt sedan juni 2001. Det innehåller den aktiva substansen darbepoetin alfa.

Mer information om Aranesps nuvarande användningar finns på EMA:s webbplats ema.europa.eu/FindMedicine/HumanMedicines/EuropeanPublicAssessmentReports.

Vad skulle Aranesp användas för?

Aranesp skulle även användas för att behandla anemi hos patienter med myelodysplastiska syndrom, en grupp benmärgssjukdomar. Läkemedlet skulle ges till patienter som inte behövde täta blodtransfusioner och som hade låg eller måttlig risk för att deras tillstånd framskrider till akut myeloid leukemi (AML, en typ av cancer som drabbar vita blodkroppar).

Hur verkar Aranesp?

Vid behandling av anemi hos patienter med myelodysplastiska syndrom förväntades Aranesp verka på samma sätt som vid de befintliga indikationerna. Darbepoetin alfa, den aktiva substansen i Aranesp,



verkar på exakt samma sätt som ett naturligt hormon som kallas erythropoietin, som produceras i njurarna för att stimulera produktionen av röda blodkroppar, men den har en något annorlunda struktur. Detta innebär att darbepoetin alfa har en längre effekt och kan ges mindre ofta än naturligt erythropoietin. Genom att Aranesp verkar på samma sätt som erythropoietin stimulerar det kroppen att producera fler röda blodkroppar och behandlar på så sätt anemin.

Vad har företaget lämnat in som stöd för sin ansökan?

Sökanden lade fram data från två huvudstudier på 356 anemiska patienter med myelodysplastiska syndrom. I den första studien jämfördes Aranesp med placebo (en överksam behandling) under 24 veckor. Det viktigaste effektmåttet var minskningen av antalet transfusioner med röda blodkroppar. I den andra studien fick alla patienter Aranesp i 13 veckor och studien mätte blodnivån av hemoglobin, den huvudsakliga beståndsdel i röda blodkroppar.

Hur långt hade utvärderingen kommit när ansökan drogs tillbaka?

Ansökan drogs tillbaka efter att CHMP hade utvärderat den ursprungliga dokumentationen från företaget och sammanställt en frågelista. Vid tidpunkten för återkallandet hade företaget ännu inte besvarat frågorna.

Vad rekommenderade CHMP vid den tidpunkten?

Efter genomgång av de inlämnade uppgifterna hyste CHMP vid tidpunkten för återkallandet vissa betänkligheter och ansåg preliminärt att Aranesp inte skulle ha kunnat godkännas för behandling av anemi hos vuxna patienter med myelodysplastiska syndrom.

CHMP fann att förändringar av studiens utformning i en studie och uteslutning av ett stort antal patienter från analysen av resultaten gör att uppgifternas validitet kan ifrågasättas. En studie som genomförts i USA följde heller inte EU:s rekommendationer för behandling av patienter med myelodysplastiska syndrom.

Vid tidpunkten för återkallandet ansåg därför CHMP att resultaten av studien inte var tillförlitliga och drog slutsatsen att förändringen av läkemedlets användning inte skulle ha kunnat godkännas på grundval av de uppgifter som företaget lämnat.

Vilka skäl angav företaget till att dra tillbaka sin ansökan?

I skrivelsen till myndigheten om att ansökan återkallas uppgav företaget att återkallandet bygger på CHMP:s ställningstagande att de tillhandahållna uppgifterna inte gör det möjligt för kommittén att godkänna användningen vid myelodysplastiska syndrom.

Företagets skrivelse om återkallande av ansökan finns [här](#).

Vilka följder får återkallandet för patienter som deltar i kliniska prövningar?

Företaget informerade myndigheten om att det inte pågår några Amgen-sponsrade kliniska prövningar med Aranesp.

Om du deltar i en klinisk prövning och behöver mer information om din behandling kan du kontakta den läkare som ger dig läkemedlet.

Vad händer med Aranesp vid dess godkända användningar?

Återkallandet får inga följder för användningen av Aranesp vid dess godkända indikationer.