

**CHMP SUOSITTELEE JINARC[®] LÄÄKKEEN (TOLVAPTAANI) HYVÄKSYNTÄÄ:
ENSIMMÄINEN LÄÄKE AUTOSOMAALISESTI VALLITSEVASTI PERIYTYVÄÄN
POLYKYSTISEEN MUNUAISTAUTIIN (ADPKD)**

- Jinarc (tolvaptaani) tulee olemaan ensimmäinen Euroopassa saatavilla oleva hyväksytty lääke potilaille, joilla on rakkulamunuaistaudin yleisin muoto – ADPKD (*Autosomal Dominant Polycystic Kidney Disease*) eli autosomaalisesti vallitsevasti periytyvä polykystinen munuaistauti, mikäli lääke hyväksytään. Tolvaptaani, joka on Otsuka Pharmaceuticalin Japanissa löytämä ja kehittämä, on hyväksytty ADPKD:n hoitoon Japanissa vuodesta 2014 lähtien, ja Kanadassa helmikuussa 2015.
- ADPKD on yleisin rakkulamunuaissairauden muoto. Se on progressiivinen ja krooninen perinnöllinen sairaus, joka aiheuttaa munuaisten tilavuutta lisäävien rakkuloiden kasvua munuaisiin, ja johtaa komplikaatioihin, kuten akuuttiin ja krooniseen kipuun, korkeaan verenpaineeseen ja munuaisten vajaatoimintaan.¹
- Kliinisessä III vaiheen ADPKD-potilaille tehdyssä tutkimuksessa tolvaptaani saavutti primaarin tulosmuuttujan ja osoitti, että vuosittainen munuaisten kokonaistilavuuden kasvu laski lähes puoleen (49 %) potilailla, jotka saivat tolvaptaania verrattuna lumelääkettä saaneisiin potilaisiin. Tolvaptaani vähensi myös munuaisten toiminnan rappeutumista 30 %:lla verrattuna lumelääkkeeseen.¹
- EMA arvioi, että ADPKD:sta kärsii noin yksi 2 500 henkilöstä Euroopassa, joka vastaa yhteensä noin 205 000 henkilöä.²

TUKHOLMA, 10. maaliskuuta 2015 -- Eurooppalaisen lääkeviranomaisen EMA:n lääkekomitea (CHMP) on suositellut Jinarc[®] (tolvaptaani) hyväksymistä sen osoitettua hidastavan rakkuloiden muodostumista ja munuaisten vajaatoimintaa ADPKD-taudista kärsivillä aikuisilla, joilla on krooninen munuaisten vajaatoiminta (CKD) vaiheissa 1-3 hoidon aloituksesta, ja joilla on ollut todisteita nopeasti etenevästä sairaudesta.

Tolvaptaani kehitettiin 26 vuoden aikana tutkijoiden sitkeiden ponnistelujen ansiosta Otsukan japanilaisessa lääketutkimuskeskuksessa. Munuaisrakkuloiden kehittymisen ja kasvamisen aiheuttaman solusignaalin löytymisen jälkeen³ Otsuka kehitti vuonna 2004 yhdessä maailman johtavien ADPKD:n asiantuntijoiden kanssa lääkkeen sairauteen.

CHMP:n suositus perustuu TEMPO 3:4 -tutkimuksesta saatuihin tietoihin, joka on tähän mennessä suurin ADPKD-taudista tehty kliininen tutkimus. TEMPO 3:4 on satunnaistettu, kaksoissokkoutettu, lumelääkekontrolloitu III vaiheen tutkimus.¹ Kolme vuotta kestäneessä tutkimuksessa tolvaptaani saavutti primaarin tulosmuuttujan ja osoitti, että vuosittainen munuaisten kokonaistilavuuden kasvu (TKV, Total Kidney Volume) putosi lähes puoleen (49%) potilailla, jotka saivat tolvaptaania verrattuna potilaisiin, jotka saivat lumelääkettä ($p < 0.001$). Lisäksi tutkimukset osoittavat, että tolvaptaani vähensi merkittävästi munuaistoimintojen heikentymistä, 30% vs. lumelääke ($p < 0.001$). Haittavaikutusten määrä tolvaptaania saaneilla potilailla TEMPO 3:4 -tutkimuksessa oli verrattavissa niihin, joita havaittiin lumelääkettä saaneiden potilasryhmässä. Tolvaptaania saaneiden ADPKD-ryhmässä oli vähemmän haittavaikutuksia, mutta useampia haittavaikutuksia liittyi akvareesiin eli veden poistumiseen ilman elektrolyyttien poistumista sekä maksavaikutuksiin, joita ei voitu yhdistää ADPKD-tautiin¹.

Viides elokuuta 2013 EU-komissiossa päätettiin, että tolvaptaani tuli luokitella harvinaislääkkeeksi ADPKD:n hoidossa.² Luokituksen mukaan EMA tunnustaa ADPKD:n harvinaisena, hengenvaarallisena ja kroonisesti vammauttavana sairautena, jolta tällä hetkellä puuttuu nimenomainen hoito.^{2,4}

“Tämä arvio sai meidät askeleen lähemmäs tavoitettamme myydä ensimmäistä ADPKD:n hoitoon tarkoitettua lääkettä”, sanoo Pontus Billstam, Otsukan Pohjoismaiden toimitusjohtaja. “Otsuka pyrkii kehittämään lääkkeitä sairauksiin, joihin on aito lääketieteellinen tarve, ja odotamme innolla EU-komission päätöstä.”

ADPKD-tautia kutsutaan usein rakkulamunuaiseksi, ja se on yleisin perinnöllinen munuaissairaus. Sairauden päätunnusmerkki on, että se muodostaa kystia eli rakkuloita munuaisiin, jotka kasvavat sekä määrältään että kooltaan.^{1,5} Rakkuloiden kasvu aiheuttaa munuaisten suurenemisen, mikä johtaa asteittaiseen munuaisten toiminnan heikentymiseen. ADPKD on neljänneksi yleisin syy munuaisten vajaatoiminnan loppuvaiheeseen aikuisilla,^{4,6} ja noin 10%:lla näistä potilaista sairaus on niin vakava, että he tarvitsevat dialyysihoitoa tai munuaissiirron⁸

EU-komissio arvioi CHMP:n suositusta, mutta sillä ei ole velvollisuutta noudattaa suositusta markkinointihyväksynnästä. Lopullista päätöstä EU-komissiolta odotetaan vuoden 2015 toisen neljänneksen aikana.

Lisätietoja:

Ewa Lundborg Haller
Public Affairs Manager
072-514 55 25 (matkapuhelin)
ewa.lundborg-haller@otsuka.se

Tietoja TEMPO 3:4:sta

TEMPO 3:4 -tutkimukseen (Tolvaptan Efficacy and Safety in Management of Autosomal Dominant Polycystic Kidney Disease and its Outcomes) kuului potilaita 129 tutkimuskeskuksesta ympäri maailman.¹ Tutkimukseen osallistui yhteensä 1 445 aikuista ADPKD-potilasta (18-50-vuotiaita), jotka olivat sairauden aikaisessa vaiheessa, mutta joilla oli merkkejä nopeasta sairauden etenemisestä. Potilaita otettiin mukaan tutkimukseen tammikuun 2007 ja tammikuun 2009 välillä, ja hoidettiin kolmen vuoden ajan.³

TEMPO 3:4:ssa nähtiin maksavaurioiden riski tolvaptaania saaneilla ADPKD-potilailla. Vaikka riski on pieni (4 %), tullaan tolvaptaania saavia potilaita seuraamaan kuukausittaisissa verikokeissa ensimmäisten 18 kuukauden aikana tolvaptanihoidoista, ja sen jälkeen joka kolmas kuukausi.

Tietoja Otsukasta

Otsuka Pharma Scandinavia AB:ssa työskentelemme innovatiivisten lääkkeiden sekä lääketeknisten tuotteiden parissa, ennen kaikkea ydinalueillamme, joita ovat keskushermostosairaudet, endokrinologia, nefrologia, gastroenterologia ja onkologia. Otsuka pyrkii jatkuvasti kehittämään ja olemaan edelläkävijä näillä erikoisaloilla.

Otsuka on perustettu vuonna 1921 Japanissa, ja yrityksen nimi tarkoittaa japaniksi ”merkittävää virstanpylvästä”. Otsuka tutkii, kehittää, valmistaa ja markkinoi innovatiivisia alkuperäistuotteita keskittyen sairauksien hoidossa käytettäviin lääkkeisiin sekä jokapäiväisen terveyden ylläpitämisessä käytettäviin ravitsemustuotteisiin. Otsuka on johtava psyykkisen terveyden lääkkeiden alalla, ja sillä on myös tutkimusohjelma, joka on kohdistettu sairauksiin, joihin tarvitaan parempia hoitoja, mm. tuberkuloosiin, joka muodostaa merkittävän maailmanlaajuisen kansanterveysongelman. Otsukaa johdetaan luovuuden, uuden ajattelun ja inhimillisyyden hengessä. Otsukalle on tärkeää tarjota henkilökohtaista palvelua ja pitää asiakasta kaiken keskipisteenä.

Otsuka Pharma Scandinavia AB perustettiin Tukholmassa vuonna 2001, ja sillä on toimintaa kaikissa Pohjoismaissa. Otsuka aloitti toimintansa Euroopassa vuonna 1979. Otsuka Pharma Scandinavia kuuluu Otsuka Pharmaceutical Co., Ltd. -yhtykseen, joka on Otsuka Holdings Co., Ltd:n, Otsuka-konsernin holding-yhtiön täysin omistama tytäryhtiö. Otsuka-konsernilla on noin 44 000 työntekijää ympäri maailman, ja yrityksen tuotteita on saatavilla 80 maassa.

Lähteet

1. Torres VE, Harris PC et al. Tolvaptan in patients with autosomal dominant polycystic kidney disease. *The New England Journal of Medicine*. 2012;367 (25): 2407-2418
2. European Medicines Agency. Public summary of opinion on orphan designation. 2013. Available from: http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/Orphan_designation/2013/09/WC500149378.pdf [Last accessed: February 2015]
3. Gattone, VH et al. Inhibition of renal cystic disease development and progression by a vasopressin V2 receptor antagonist. *Nature Medicine*. 2003; 9 (10): 1323-1326
4. Takiar V, Caplan MJ. Polycystic kidney disease: pathogenesis and potential therapies. *Biochimica et Biophysica Acta*. 2011;1812(10):1337-43
5. Patel V, Chowdhury R et al. Advances in the pathogenesis and treatment of polycystic kidney disease. *Current Opinion in Nephrology and Hypertension*. 2009;18:99-106
6. Alam A, Perrone RD. Management of ESRD in Patients With Autosomal Dominant Polycystic Kidney Disease. *Advances in Chronic Kidney Disease*. Vol 17, No 2. March 2010: pp 164-172.
7. Thong KM, Ong ACM. The natural history of autosomal dominant polycystic kidney disease: 30-year experience from a single centre. *QJM*. 2013;2-8