

London, den 20. november 2008

Dok.-ref. EMEA/611497/2008

**Spørgsmål og svar vedrørende tilbagetrækningen af ansøgningen om
markedsføringstilladelse
for
Vekacia**

Internationalt fællesnavn (INN): *ciclosporin*

Den 14. november 2008 meddelte Novagali Pharma S.A officielt Udvalget for Humanmedicinske Lægemidler (CHMP), at firmaet ønsker at tilbagetrække sin ansøgning om markedsføringstilladelse for Vekacia til behandling af keratoconjunctivitis vernalis. Vekacia blev udpeget som lægemiddel til sjældne sygdomme den 6. april 2006.

Hvad er Vekacia?

Vekacia er et lægemiddel, der indeholder ciclosporin. Det skulle have været leveret som øjendråber.

Hvad forventedes Vekacia anvendt til?

Vekacia forventedes anvendt til behandling af keratoconjunctivitis vernalis. Det er betændelse i bindehinden (den membran, der dækker øjets forreste halvdel og bagsiden af øjenlåget) og hornhinden (den gennemsigtige forreste del af øjeæblets ydre hinde), som skyldes allergi. Keratoconjunctivitis vernalis er en langvarig sygdom, der hovedsagelig rammer unge drenge, som bor i et varmt og tørt klima såsom Middelhavslandene. 'Vernalis' betyder at det navnlig forekommer om foråret. Denne sygdom kan føre til nedsat syn.

Hvordan forventes Vekacia at virke?

Det aktive stof i Vekacia, ciclosporin, er et immunosuppressivt stof. Det betyder, at det påvirker immunsystemets aktivitet (kroppens naturlige forsvar). Ciclosporin er siden midten af 1980'erne blevet anvendt til at mindske afstødningen hos transplantationspatienter (når immunsystemet angriber det transplanterede organ). Hos patienter med keratoconjunctivitis vernalis forventedes ciclosporin givet som øjendråber at svække de lokale immunreaktioner, der forårsager betændelse i bindehinden og hornhinden.

Hvilken dokumentation fremlagde virksomheden i forbindelse med ansøgningen til CHMP?

Da ciclosporin har været anvendt i mange år, fremlagde ansøgeren data om forsøgsmodeller fra faglitteraturen

Virksomheden fremlagde resultaterne af en undersøgelse af 118 børn (over fire år) og unge for at støtte anvendelsen af Vekacia til behandling af keratoconjunctivitis vernalis. Patienterne blev behandlet med Vekacia ved en koncentration på 0,05 % (0,5 mg ciclosporin pr. milliliter) eller på 0,1 % (1 mg/ml) eller med placebo (uvirksomme øjendråber). I dette tilfælde var dette bærerstoffet (de samme øjendråber men uden ciclosporin). Det primære mål for virkningen var ændringer i symptomerne på sygdommen efter fire uger ifølge lægens opgørelser. De symptomer, der blev set på var: brændende fornemmelse, kløe, smerte, klæbrige øjenlåg, fornemmelse af fremmedlegeme i øjet eller lysoverfølsomhed.

Hvor langt var vurderingen af ansøgningen nået, da den blev trukket tilbage?

Ansøgningen var på dag 175, da firmaet trak den tilbage. Efter at CHMP havde vurderet virksomhedens besvarelse af spørgsmålene på listen, var der fortsat visse uafklarede spørgsmål.

CHMP er normalt op til 210 dage om at vurdere en ny ansøgning. Efter gennemgang af den oprindelige dokumentation udarbejder CHMP på dag 120 en liste over spørgsmål, som sendes til virksomheden. Når virksomheden har besvaret spørgsmålene, gennemgår CHMP besvarelsen og kan, inden udvalget afgiver en udtalelse, stille eventuelle supplerende spørgsmål til virksomheden på dag 180. Efter at CHMP har afgivet sin udtalelse, er Europa-Kommissionen sædvanligvis ca. to måneder om at udstede tilladelsen.

Hvad anbefalede CHMP på daværende tidspunkt?

På baggrund af gennemgangen af dataene og virksomhedens besvarelse af CHMP's liste med spørgsmål på tidspunktet for tilbagetrækningen af ansøgningen havde CHMP visse betænkeligheder og var af den foreløbige opfattelse, at Vekacia ikke kunne godkendes til keratoconjunctivitis vernalis.

Hvori bestod CHMP's vigtigste betænkeligheder?

CHMP fandt grund til betænkelighed ved, at virkningen af Vekacia ikke var blevet påvist i forhold til bærestoffet. Udvalgets betænkeligheder vedrørte den måde undersøgelsen var udformet på, de patienter, der blev udvalgt til behandling, den måde symptomerne blev målt på, og den måde, hvorpå undersøgelsens resultater blev analyseret. Udvalget bemærkede også, at langtidsvirkningerne af lægemidlet ikke var blevet undersøgt.

På tilbagetrækningstidspunktet var det derfor CHMP's opfattelse, at fordelene ved Vekacia ikke var tilfredsstillende godtgjort, og at eventuelle fordele ikke opvejede de fundne risici.

Hvilke begrundelser gav virksomheden for tilbagetrækningen af ansøgningen?

Brevet fra virksomheden, hvori EMEA underrettes om tilbagetrækning af ansøgningen, kan ses [her](#).

Hvilke konsekvenser har tilbagetrækningen for patienter, der deltager i kliniske undersøgelser med Vekacia eller i programmer for anvendelse med særlig udleveringstilladelse?

Firmaet har til CHMP oplyst, at der på nuværende tidspunkt ikke gennemføres kliniske undersøgelser eller programmer for anvendelse med særlig udleveringstilladelse for Vekacia i Europa.