

**OTÁZKY A ODPOVĚDI TÝKAJÍCÍ SE STAŽENÍ ŽÁDOSTI O VYDÁNÍ ROZHODNUTÍ O
REGISTRACI
přípravku
KIACTA**

Mezinárodní nechráněný název (INN): *eprodisat, sodná sůl*

Dne 13. března 2008 společnost Neurochem Luxco II SARL oficiálně oznámila Výboru pro humánní léčivé přípravky (CHMP), že se rozhodla stáhnout žádost o vydání rozhodnutí o registraci léčivého přípravku Kiacta určeného k léčbě amyloid A amyloidózy. Přípravek Kiacta byl dne 31. července 2001 označen jako léčivý přípravek pro vzácná onemocnění.

Co je Kiacta?

Kiacta je léčivý přípravek, který obsahuje účinnou látku eprodisat, disodná sůl. Měl být k dispozici ve formě tobolek.

Na co měl být přípravek Kiacta používán?

Přípravek Kiacta měl být používán k léčbě amyloid A amyloidózy. Jedná se o vzácné, život ohrožující onemocnění, ke kterému může dojít u pacientů s dlouhotrvajícím zánětem, nejčastěji v případě revmatoidní artritidy. Amyloid A amyloidóza je způsobena hromaděním nerozpustných „fibril“ (jemných vláken) proteinu nazývaného „amyloid A“ (AA) v jednotlivých orgánech těla. AA je v těle produkován z proteinu nazývaného „sérum amyloid A“, který uvolňují buňky jater jako reakci na zánět. Nejzávažnější příznaky tohoto onemocnění jsou způsobeny tvorbou usazenin v ledvinách a jejich poškozením.

Jak měl přípravek Kiacta působit?

Účinná látka přípravku Kiacta, eprodisat, disodná sůl, by měla působit tak, že narušuje vytváření vláken amyloidu A, čímž zabraňuje tvorbě usazenin v jednotlivých orgánech. Předpokládá se, že bude zabraňovat poškození orgánů.

Jakou dokumentaci předložila společnost výboru CHMP na podporu své žádosti?

Účinky přípravku Kiacta byly nejprve testovány na experimentálních modelech a teprve poté na lidech. Účinnost přípravku Kiacta byla hodnocena v jedné hlavní studii zahrnující 183 pacientů s AA amyloidózou, ve kterých byl přípravek Kiacta srovnáván s placebem (léčba neúčinným přípravkem). Hlavním měřítkem účinnosti byl počet pacientů, u kterých se během dvou let léčby funkce ledvin výrazně zhoršila nebo kteří zemřeli.

V jaké fázi bylo posuzování žádosti v době, kdy byla stažena?

Posuzování bylo ukončeno a výbor CHMP vydal záporné stanovisko. Společnost si vyžádala prošetření negativního stanoviska, to však nebylo v době stažení dokončeno.

Jaké bylo doporučení výboru CHMP v dané době?

Na základě vyhodnocení dostupných údajů a odpovědí společnosti na seznam otázek v době stažení žádosti vydal výbor CHMP záporné stanovisko a nedoporučil udělit rozhodnutí o registraci pro přípravek Kiacta k léčbě AA amyloidózy.

Čím byl výbor CHMP nejvíce znepokojen?

Výbor CHMP se obával, že účinnost přípravku Kiacta v léčbě AA amyloidózy nebyla v jediné hlavní studii dostatečně prokázána. Ačkoli se objevila domněnka, že přípravek Kiacta by mohl být účinný, výbor došel k závěru, že k prokázání účinnosti tohoto přípravku by bylo třeba provést další studii.

Navíc, po provedení inspekce na místě, kde byly tyto údaje analyzovány, se kvůli způsobu provedení analýzy výbor CHMP obával o spolehlivost závěrů studie.

Proto výbor CHMP v době stažení žádosti zastával názor, že přínos přípravku Kiacta nebyl dostatečným způsobem prokázán a že veškeré přínosy tohoto přípravku nepřevyšují zjištěná rizika.

Jaké důvody stažení žádosti uvedla společnost?

Dopis, v němž společnost uvědomuje agenturu EMEA o stažení žádosti, je uveřejněn na internetových stránkách agentury a je k dispozici [zde](#).

Jaké důsledky má stažení žádosti pro pacienty zařazené do klinických studií s přípravkem Kiacta?

Společnost informovala výbor CHMP, že probíhající klinická studie přípravku Kiacta se zastavuje, aby mohla provést druhou studii na srovnání přípravku Kiacta s placebem. Pokud jste zařazení do klinické studie a chcete získat více informací o své léčbě, obraťte se na lékaře, který Vaši léčbu řídí.