



**SPØRGSMÅL OG SVAR VEDRØRENDE TILBAGETRÆKNINGEN AF ANSØGNINGEN
OM MARKEDSFØRINGSTILLADELSE
for
KIACTA**

Internationalt fællesnavn (INN): *natriumeprodisat*

Den 13. marts 2008 meddelte Neurochem Luxco II SARL officielt Udvalget for Humanmedicinske Lægemidler (CHMP), at firmaet ønsker at tilbagetrække sin ansøgning om markedsføringstilladelse for Kiacta til behandling af A- amyloidose (AA-amyloidose). Kiacta blev udpeget som lægemiddel til sjældne sygdomme den 31. juli 2001.

Hvad er Kiacta?

Kiacta er et lægemiddel, der indeholder det aktive stof dinatriumeprodisat. Det skulle leveres som kapsler.

Hvad forventedes Kiacta anvendt til?

Kiacta forventedes anvendt til behandling af AA-amyloidose. Det er en sjælden, livstruende sygdom, som opstår hos patienter med længerevarende betændelse, som oftest skyldes rheumatoid arthritis (leddegigt). Amyloid A-amyloidose skyldes, at der ophober sig uopløselige "fibriller" (fine tråde) af et protein kaldet 'amyloid A' (AA) i kroppens organer. AA fremstilles i kroppen af et protein kaldet 'serumamyloid A', der frigives af leverceller som reaktion på betændelse. De alvorligste symptomer på sygdommen skyldes, at amyloid A aflejres i nyrene og beskadiger dem.

Hvordan forventes Kiacta at virke?

Det aktive stof i Kiacta, dinatriumeprodisat, forventes at virke ved at påvirke dannelsen af AA-fibriller og dermed forhindre, at de aflejrer sig i organerne. Dette forventes at være med til at forhindre beskadigelse af organerne.

Hvilken dokumentation fremlagde virksomheden i forbindelse med ansøgningen til CHMP?

Virkningerne af Kiacta blev først afprøvet i forsøgsmodeller, inden de blev undersøgt hos mennesker. Kiactas virkning blev undersøgt i en hovedundersøgelse af 183 patienter med AA amyloidose. I undersøgelsen blev Kiacta sammenlignet med placebo (en uvirksom behandling). Behandlingens virkning blev hovedsagelig bedømt på antallet af patienter, hos hvem nyrefunktionen blev betydeligt forværret eller som døde i løbet af de to års behandling.

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

Vurderingen var afsluttet, og CHMP havde afgivet en negativ udtalelse. Firmaet havde anmodet om, at den negative udtalelse blev taget op til fornyet overvejelse, men denne var endnu ikke afsluttet, da firmaet trak ansøgningen tilbage.

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 afgivet en negativ udtalelse og anbefalede ikke udstedelse af markedsføringstilladelse for Kiacta til behandling af AA amyloidose.

Hvori bestod CHMP's vigtigste betænkeligheder?

CHMP gav udtryk for betænkeligheder ved, at virkningen af Kiacta til behandling af AA-amyloidose ikke var blevet påvist i tilstrækkelig grad i den eneste hovedundersøgelse, som var blevet gennemført. Selvom det blev antydnet, at Kiacta muligvis er virksomt, konkluderede udvalget, at det var nødvendigt med en anden undersøgelse for at påvise lægemidlets virkning.

Efter en inspektion af stedet, hvor oplysningerne fra undersøgelsen var blevet analyseret, sætte udvalget spørgsmålstejn ved, om undersøgelsens resultater var pålidelige på grund af den måde analysen var blevet gennemført på.

På tilbagetrækningstidspunktet var det derfor CHMP's opfattelse, at fordelene ved Kiacta ikke var blevet tilstrækkeligt påvist, og at de eventuelle fordele ikke opvejede de påviste 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 Kiacta?

Virksomheden underrettede CHMP om, at den igangværende kliniske undersøgelse med Kiacta bliver afbrudt, så der kan udføres en anden undersøgelse for at sammenligne Kiacta med placebo. Hvis du deltager i en klinisk undersøgelse og har behov for mere information om din behandling, bedes du kontakte den læge, der giver dig denne behandling.