



**FRAGEN UND ANTWORTEN ZUR RÜCKNAHME DES ANTRAGS AUF GENEHMIGUNG
FÜR DAS INVERKEHRBRINGEN
von
KIACTA**

Internationaler Freiname (INN): *Eprodisat-Natrium*

Am 13. März 2008 teilte Neurochem Luxco II SARL dem Ausschuss für Humanarzneimittel (CHMP) offiziell mit, dass das Unternehmen seinen Antrag auf Genehmigung für das Inverkehrbringen von Kiacta zur Behandlung von AA-Amyloidose zurücknimmt. Kiacta wurde am 31. Juli 2001 als Arzneimittel für seltene Leiden ausgewiesen.

Was ist Kiacta?

Kiacta ist ein Arzneimittel, das den Wirkstoff Eprodisat-Dinatrium enthält. Es hätte als Kapseln erhältlich sein sollen.

Wofür sollte Kiacta angewendet werden?

Kiacta sollte zur Behandlung der AA-Amyloidose angewendet werden. Hierbei handelt es sich um eine seltene, lebensbedrohliche Erkrankung, die bei Patienten mit chronischen Entzündungen, insbesondere aufgrund rheumatoider Arthritis, auftritt. AA-Amyloidose wird durch die Anreicherung nicht löslicher „Fibrillen“ (feine Fasern) eines Proteins, des so genannten „Amyloid-A“ (AA) in den Organen des Körpers verursacht. AA wird im Körper von einem Protein, dem so genannten „Serum-Amyloid-A“ gebildet, das als Reaktion auf eine Entzündung von Leberzellen freigesetzt wird. Die schwerwiegendsten Symptome der Krankheit werden durch AA-Ablagerungen in den Nieren und ihrer damit verbundenen Schädigung verursacht.

Wie soll Kiacta wirken?

Der Wirkstoff in Kiacta, Eprodisat-Dinatrium, soll dadurch wirken, dass die Bildung von AA-Fibrillen gestört und somit das Entstehen von Ablagerungen in den Organen verhindert wird. Auf diese Weise soll eine Organschädigung verhindert werden.

Welche Unterlagen hat das Unternehmen dem CHMP zur Stützung seines Antrags vorgelegt?

Die Wirkungen von Kiacta wurden zunächst in Versuchsmodellen getestet, bevor sie an Menschen untersucht wurden.

Die Wirksamkeit von Kiacta wurde in einer Hauptstudie an 183 Patienten mit AA-Amyloidose untersucht, bei der Kiacta mit einem Placebo (Scheinmedikament) verglichen wurde. Hauptindikator für die Wirksamkeit war die Anzahl der Patienten, deren Nierenfunktion sich gravierend verschlechterte bzw. die im Laufe der zweijährigen Behandlung verstarben.

In welchem Stadium der Beurteilung befand sich der Antrag zum Zeitpunkt der Rücknahme?

Die Beurteilung war abgeschlossen, und der CHMP hatte ein negatives Gutachten vorgelegt. Das Unternehmen hatte eine Überprüfung des negativen Gutachtens beantragt, die jedoch zum Zeitpunkt der Rücknahme des Antrags noch nicht abgeschlossen war.

Wie lautete die Empfehlung des CHMP zu diesem Zeitpunkt?

Aufgrund der geprüften Daten und der Antworten des Unternehmens auf die Liste von Fragen des CHMP hatte der Ausschuss zum Zeitpunkt der Rücknahme ein negatives Gutachten vorgelegt und

empfohlen, keine Genehmigung für das Inverkehrbringen von Kiacta zur Behandlung von AA-Amyloidose zu erteilen.

Was waren die wesentlichen Bedenken des CHMP?

Der CHMP hatte Bedenken, dass die Wirksamkeit von Kiacta bei der Behandlung der AA-Amyloidose in der einzigen Hauptstudie nicht hinreichend nachgewiesen worden war. Zwar gab es Hinweise auf eine Wirkung von Kiacta, doch gelangte der Ausschuss zu dem Schluss, dass zum Nachweis der Wirksamkeit des Arzneimittels eine weitere Studie erforderlich sei.

Überdies hatte der CHMP nach einer Inspektion der Örtlichkeiten, in denen die Analyse der Studiendaten erfolgte, aufgrund der Art und Weise der Analysedurchführung Bedenken bezüglich der Zuverlässigkeit der Studienergebnisse.

Aus diesem Grund vertrat der CHMP zum Zeitpunkt der Rücknahme die Ansicht, dass der Nutzen von Kiacta nicht hinreichend nachgewiesen worden war und ein etwaiger Nutzen die festgestellten Risiken nicht überwog.

Aus welchen Gründen hat das Unternehmen den Antrag zurückgenommen?

Das Schreiben, in dem das Unternehmen die EMEA über die Rücknahme des Antrags informiert, kann [hier](#) aufgerufen werden.

Welche Konsequenzen hat die Rücknahme für Patienten, die derzeit an klinischen Studien mit Kiacta teilnehmen?

Das Unternehmen setzte den CHMP davon in Kenntnis, dass die laufende klinische Studie mit Kiacta abgebrochen wird, damit das Unternehmen eine zweite Studie zum Vergleich von Kiacta mit Placebo durchführen kann. Sollten Sie an einer klinischen Studie teilnehmen und weitere Informationen zu Ihrer Behandlung benötigen, wenden Sie sich bitte an Ihren behandelnden Arzt.