

Λονδίνο, 19 Μαρτίου 2008  
Αριθμός πρωτ. EMEA/180130/2008

**ΕΡΩΤΗΣΕΙΣ ΚΑΙ ΑΠΑΝΤΗΣΕΙΣ ΣΧΕΤΙΚΑ ΜΕ ΤΗΝ ΑΠΟΣΥΡΣΗ ΤΗΣ ΑΙΤΗΣΗΣ  
ΧΟΡΗΓΗΣΗΣ ΑΔΕΙΑΣ ΚΥΚΛΟΦΟΡΙΑΣ**

**στο  
ΚΙΑCTA**

Κοινόχρηστη διεθνής ονομασία (INN): *eprodisate sodium*

Στις 13 Μαρτίου 2008 η εταιρεία *Neurochem Luxco II SARL* κοινοποίησε επίσημα στην Επιτροπή Φαρμάκων για Ανθρώπινη Χρήση (CHMP) την πρόθεσή της να αποσύρει την αίτηση για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας του φαρμάκου *Kiacta*, το οποίο προοριζόταν για θεραπεία της αμυλοειδωσης που σχετίζεται με το αμυλοειδές Α. Το *Kiacta* χαρακτηρίστηκε ορφανό φάρμακο στις 31 Ιουλίου 2001.

**Τι είναι το *Kiacta*;**

Το *Kiacta* είναι ένα φάρμακο που περιέχει τη δραστική ουσία *eprodisate disodium* (επροδιζάτη δινατριούχος). Επρόκειτο να διατεθεί υπό μορφή καψακίων.

**Σε ποιες περιπτώσεις επρόκειτο να χρησιμοποιηθεί το *Kiacta*;**

Το *Kiacta* αναμενόταν να χρησιμοποιηθεί για τη θεραπεία της αμυλοειδωσης που σχετίζεται με το αμυλοειδές Α. Πρόκειται για μια σπάνια ασθένεια, απειλητική για τη ζωή, η οποία εμφανίζεται σε ασθενείς με χρόνια φλεγμονή, συνήθως λόγω ρευματοειδούς αρθρίτιδας. Η αμυλοειδωση που σχετίζεται με το αμυλοειδές Α οφείλεται στη συσσώρευση αδιάλυτων «ινιδίων» (λεπτών ινών) μιας πρωτεΐνης που ονομάζεται «αμυλοειδές Α» (AA) στα διάφορα όργανα. Η AA παράγεται στον οργανισμό από μια πρωτεΐνη που ονομάζεται αμυλοειδές Α του ορού και απελευθερώνεται από τα κύτταρα του ήπατος ως αντίδραση στη φλεγμονή. Τα σοβαρότερα συμπτώματα της νόσου οφείλονται στη συσσώρευση AA στους νεφρούς, οι οποίοι υφίστανται βλάβη κατά τον τρόπο αυτό.

**Ποια είναι η αναμενόμενη δράση του *Kiacta*;**

Η δραστική ουσία του *Kiacta*, η επροδιζάτη δινατριούχος, αναμένεται να δράσει παρεμβαίνοντας στο σχηματισμό ινιδίων του AA και εμποδίζοντας τη συσσώρευσή τους στα διάφορα όργανα. Κατ' αυτόν τον τρόπο αναμένεται να συμβάλλει στην αποφυγή βλαβών των οργάνων.

**Τι είδους τεκμηρίωση υπέβαλε η παρασλευάστρια εταιρεία προς στήριξη της αίτησης στην CHMP;**

Τα αποτελέσματα του *Kiacta* ελέγχθηκαν πρώτα σε πειραματικά μοντέλα προτού μελετηθούν σε ανθρώπους.

Η αποτελεσματικότητα του *Kiacta* μελετήθηκε σε μία βασική μελέτη στην οποία συμμετείχαν 183 ασθενείς με αμυλοειδωση AA, στο πλαίσιο της οποίας το *Kiacta* συγκρίθηκε με εικονικό φάρμακο (εικονική θεραπεία). Ο βασικός δείκτης μέτρησης της αποτελεσματικότητας ήταν ο αριθμός των ασθενών των οποίων η νεφρική λειτουργία επιδεινώθηκε σημαντικά ή οι οποίοι απεβίωσαν μετά από θεραπεία δύο ετών.

**Σε ποιο στάδιο της αξιολόγησης βρισκόταν η αίτηση τη στιγμή της απόσυρσης;**

Η αξιολόγηση είχε ολοκληρωθεί και η CHMP είχε εκδώσει αρνητική γνώμη. Η εταιρεία είχε ζητήσει την επανεξέταση της αρνητικής γνώμης, η σχετική διαδικασία όμως δεν είχε ολοκληρωθεί κατά την απόσυρση της αίτησης.

**Ποια ήταν η σύσταση της CHMP τη στιγμή της απόσυρσης;**

Βάσει της εξέτασης των υποβληθέντων στοιχείων και των απαντήσεων της εταιρείας στον κατάλογο ερωτήσεων της CHMP τη στιγμή της απόσυρσης, η CHMP είχε εκδώσει αρνητική γνώμη και δεν εισηγήθηκε τη χορήγηση άδειας κυκλοφορίας στο Kiacta για τη θεραπεία της αμυλοείδωσης τύπου ΑΑ.

**Ποιες ήταν οι κύριες ανησυχίες της CHMP;**

Η CHMP εξέφρασε την ανησυχία ότι η αποτελεσματικότητα του Kiacta για τη θεραπεία της αμυλοείδωσης ΑΑ δεν είχε καταδειχθεί επαρκώς στη μοναδική βασική μελέτη. Αν και υπήρχε ένδειξη ότι το Kiacta μπορεί να είναι δραστικό, η επιτροπή έκρινε ότι θα χρειαζόταν η διενέργεια και άλλης μελέτης προκειμένου να καταδειχθεί η αποτελεσματικότητα του φαρμάκου.

Επιπλέον, έπειτα από επιθεώρηση του τόπου ανάλυσης των δεδομένων της μελέτης, η CHMP εξέφρασε την ανησυχία της σχετικά με την αξιοπιστία των πορισμάτων της μελέτης λόγω του τρόπου διεξαγωγής της ανάλυσης.

Ως εκ τούτου, τη στιγμή της απόσυρσης, η CHMP έκρινε ότι το όφελος του Kiacta δεν είχε καταδειχθεί επαρκώς και ότι δεν υπερτερούσε των διαπιστωθέντων κινδύνων.

**Ποιοι ήταν οι λόγοι απόσυρσης της αίτησης που παρέθεσε η εταιρεία;**

Η επιστολή της εταιρείας με την οποία κοινοποιεί στον ΕΜΕΑ την απόσυρση της αίτησης διατίθεται [εδώ](#).

**Ποιες είναι οι επιπτώσεις από την απόσυρση της αίτησης στους ασθενείς που συμμετέχουν σε κλινικές δοκιμές με το Kiacta;**

Η εταιρεία πληροφόρησε την CHMP ότι η κλινική δοκιμή που διεξάγεται επί του παρόντος θα σταματήσει, ούτως ώστε να μπορέσει η εταιρεία να πραγματοποιήσει μία δεύτερη μελέτη που θα συγκρίνει το Kiacta με εικονικό φάρμακο. Εάν συμμετέχετε σε κλινική δοκιμή και χρειάζεστε περισσότερες πληροφορίες σχετικά με την θεραπεία σας, συμβουλευθείτε το γιατρό που σας την χορηγεί.