



KYSYMYKSIÄ JA VASTAUKSIA MYYNTILUPAHAKEMUKSEN PERUUTTAMISESTA
Lääkevalmiste:
KIACTA

Kansainvälinen yleisnimi (INN): *eprodisaattinatrium*

Neurochem Luxco II SARL ilmoitti 13.3.2008 virallisesti lääkevalmistekomitealle (CHMP) päätöksestään peruuttaa myyntilupahakemuksensa Kiacta-lääkevalmistetta varten, joka on tarkoitettu amyloidi A -amyloidoosin hoitoon. Kiacta nimettiin harvinaislääkkeeksi 31.7.2001.

Mitä Kiacta on?

Kiacta on lääke, jonka vaikuttava aine on eprodisaattidinatrium ja jota saa kapseleina.

Mihin Kiactaa aiottiin käyttää?

Kiactaa aiottiin käyttää amyloidi A -amyloidoosin hoitoon. Se on harvinainen hengenvaarallinen sairaus, ja sitä tavataan potilailla, joilla on pitkään kestänyt, yleisimmin nivelreumasta johtuva tulehdus. Amyloidi A -amyloidoosi johtuu amyloidi A- (AA-) nimisten liukenemattomien hienojen proteiinisäikeiden kehitymisestä elimistössä. AA:ta muodostuu kehossa proteiinista nimeltä seerumin amyloidi A, jota maksan solut vapauttavat tulehdusreaktiossa. Sairauden vakavimmat oireet aiheutuvat AA-kertymien muodostumista munuaisissa, mikä vahingoittaa niitä.

Miten Kiactan odotettiin vaikuttavan?

Kiactan vaikuttavan aineen, eprodisaatti dinatriumin, odotettiin estävän AA:n säikeiden muodostuminen ja ehkäisevän kertymien kehittymistä elimissä. Tämän odotettiin auttavan estämään elinvaurioita.

Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevalmistekomitealle hakemuksensa tueksi?

Kiactan vaikutuksia testattiin ensin kokeellisilla malleilla ennen ihmisillä tutkimista. Kiactan tehokkuutta tutkittiin yhdessä päätutkimuksessa, johon osallistui 183 AA-amyloidoosia sairastavaa potilasta, joilla Kiactaa verrattiin lumelääkkeeseen. Tehokkuuden pääasiallisena mittana oli niiden potilaiden määrä, joiden munuaisten toiminta huononi merkittävästi tai jotka kuolivat kahden hoitovuoden aikana.

Miten pitkällä hakemuksen arviointi oli peruuttamishetkellä?

Arviointi oli päättynyt ja lääkevalmistekomitea oli antanut kielteisen lausunnon. Yritys oli pyytänyt kielteisen lausunnon uudelleen käsittelyä, joka oli meneillään, kun yritys peruutti hakemuksensa.

Mikä oli lääkevalmistekomitean suositus tuolloin?

Saamiensa tietojen ja yhtiön kysymysluetteloon antamien vastausten perusteella lääkevalmistekomitea antoi hakemuksesta kielteisen lausunnon eikä suositellut myyntiluvan myöntämistä Kiactalle AA-amyloidoosin hoitoon.

Mitkä olivat lääkevalmistekomitean tärkeimmät huolenaiheet?

Lääkevalmistekomitea oli huolissaan siitä, että yhdessä päätutkimuksessa ei ollut osoitettu riittävästi Kiactan tehokkuutta AA-amyloidoosin hoidossa. Vaikka Kiactan mahdollisesta tehokkuudesta oli viitteitä, lääkevalmistekomitea katsoi, että lääkkeen tehokkuuden osoittamiseen tarvittaisiin toinen tutkimus.

Tutkimustietoja sisältävän sivuston tarkastamisen jälkeen lääkevalmistekomitean huolena oli lisäksi tutkimustulosten reliabiliteetti käytössä olleen analysointitavan takia.

Tämän vuoksi lääkevalmistekomitea katsoi hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, että Kiactasta ei ollut osoitettu olevan riittävä hyötyä, eikä hyöty ollut havaittuja riskejä merkittävämpi.

Mistä syistä yhtiö peruutti hakemuksen?

Yhtiön kirje, jossa se ilmoittaa EMEAlle hakemuksen peruuttamisesta, on [tässä](#).

Mitä seurauksia peruutuksesta on potilaille, jotka osallistuvat Kiactan kliinisiin tutkimukseen?

Yhtiö ilmoitti lääkevalmistekomitealle, että Kiactan meneillään oleva kliininen tutkimus keskeytetään, jotta se voi tehdä toisen tutkimuksen Kiactan vertaamiseksi lumelääkkeeseen. Jos kuitenkin olet mukana kliinisessä tutkimuksessa ja tarvitset lisätietoja hoidostasi, ota yhteyttä sinua hoitavaan lääkäriin.