



**QUESTIONS ET RÉPONSES SUR LE RETRAIT DE LA DEMANDE D'AUTORISATION DE
MISE SUR LE MARCHÉ
concernant
KIACTA**

Dénomination commune internationale (DCI) : *éprodisate de sodium*

Le 13 mars 2008, Neurochem Luxco II SARL a officiellement notifié le comité des médicaments à usage humain (CHMP) de son souhait de retirer sa demande d'autorisation de mise sur le marché pour Kiacta destiné au traitement de l'amylose amyloïde A. Kiacta a reçu la désignation de médicament orphelin le 31 juillet 2001.

Qu'est-ce que Kiacta?

Kiacta est un médicament contenant le principe actif éprodisate de sodium. Il devait être disponible sous forme de gélules.

Dans quel cas Kiacta devait-il être utilisé?

Kiacta devait être utilisé afin de traiter l'amylose amyloïde A. Il s'agit d'une maladie rare, pouvant être mortelle, qui affecte les patients atteints d'inflammation de longue durée, le plus souvent due à de la polyarthrite rhumatoïde. L'amylose amyloïde A est provoquée par la formation d'agrégats fibrillaires (fils fins) insolubles d'une protéine appelée « amyloïde A » (AA) dans les organes du corps. L'AA est produite dans le corps par une protéine appelée « amyloïde sérique A », qui est produite par les cellules hépatiques en réponse à l'inflammation. Les symptômes les plus graves de la maladie sont provoqués par des dépôts d'AA dans les reins qu'ils endommagent.

Comment Kiacta devrait-il agir?

Le principe actif de Kiacta, l'éprodisate de sodium, devrait interférer avec la formation d'agrégats fibrillaires d'AA, empêchant ainsi les dépôts de s'accumuler dans les organes. Cela devrait aider à prévenir les dommages sur les organes.

Quelle a été la documentation présentée par la société pour justifier la demande auprès du CHMP?

Les effets de Kiacta ont d'abord été testés sur des modèles expérimentaux avant d'être étudiés chez les humains.

L'efficacité de Kiacta a été étudiée dans une étude principale impliquant 183 patients atteints d'amylose AA, dans laquelle Kiacta a été comparé à un placebo (traitement fictif). Le principal critère d'évaluation a été le nombre de patients dont les fonctions rénales se sont considérablement dégradées ou qui sont décédés au cours de deux années de traitement.

À quel stade en était l'évaluation lors du retrait de la demande?

L'évaluation était terminée et le CHMP avait rendu un avis négatif. La société avait demandé un réexamen de l'avis négatif mais ce réexamen n'était pas encore terminé lorsque la société a retiré sa demande.

Quelle était la recommandation du CHMP à ce stade?

En s'appuyant sur la révision des données et sur la réponse de la société à la liste de questions du CHMP, au moment du retrait, le CHMP avait rendu un avis négatif et ne recommandait pas l'octroi d'une autorisation de mise sur le marché pour Kiacta dans le traitement de l'amylose AA.

Quelles étaient les principales réserves du CHMP?

Les réserves du CHMP étaient liées au fait que l'efficacité de Kiacta dans le traitement de l'amylose AA n'avait pas été suffisamment démontrée dans la seule étude principale. Bien qu'il ait été suggéré que Kiacta est susceptible d'être actif, le comité a conclu qu'une étude supplémentaire serait nécessaire pour démontrer l'efficacité du médicament.

En outre, suite à une inspection réalisée sur le site sur lequel les données provenant de l'étude ont été analysées, le CHMP avait émis des réserves au sujet de la fiabilité des résultats de l'étude en raison de la manière dont l'analyse avait été effectuée.

Par conséquent, au moment du retrait de la demande, l'avis du CHMP était que les effets bénéfiques de Kiacta n'avaient pas été suffisamment démontrés et ne l'emportaient pas sur les risques identifiés.

Quels ont été les motifs invoqués par la société pour le retrait de la demande?

La lettre de retrait envoyée par la société à l'EMA est disponible [ici](#).

Quelles sont les conséquences du retrait pour les patients participant à des essais cliniques portant sur Kiacta?

La société a informé le CHMP que l'essai clinique en cours avec Kiacta est interrompu, de sorte qu'elle puisse réaliser une deuxième étude en vue de comparer Kiacta avec un placebo. Si vous participez actuellement à un essai clinique et si vous souhaitez des informations complémentaires sur votre traitement, contactez le médecin qui vous a prescrit le traitement.