



## KÉRDÉSEK ÉS VÁLASZOK A FORGALOMBA HOZATALI ENGEDÉLY IRÁNTI KÉRELEM VISSZAVONÁSÁVAL KAPCSOLATBAN

### KIAC TA

Nemzetközi szabadnév (INN): *eprodisate sodium*

2008. március 13-án a Neurochem Luxco II SARL hivatalosan értesítette az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottságát (CHMP), hogy vissza kívánja vonni az amyloid A amyloidosis kezelésére szánt Kiacta-ra vonatkozó forgalomba hozatali engedély iránti kérelmét. 2001. július 31-én a Kiacta-t ritka betegségek gyógyszerévé minősítették.

#### **Milyen típusú gyógyszer a Kiacta?**

A Kiacta hatóanyagként eprodisate disodiumot tartalmazó gyógyszer. Kapszula formájában hozták volna forgalomba.

#### **Milyen betegségek kezelésére szánták a Kiacta-t?**

A Kiacta-t amyloid A amyloidosis kezelésére szánták volna. Az amyloid A amyloidosis egy ritka betegség, amely halálos kimenetelűvé is válhat. Azoknál a betegeknek fordul elő, akiknél leggyakrabban rheumatoid arthritis miatt hosszan tartó gyulladós állapot áll fenn. Az amyloid A amyloidosis betegséget az úgynevezett "amyloid A" (AA) oldhatatlan "fibrózus" fehérjék (finom fibrillumok) emberi szervezetben való lerakódása okozza. Az AA fehérjét a szervezetben egy, a májsejtekből kiválasztódó, úgynevezett "szérum amyloid A" fehérje állítja elő válaszként a gyulladós állapotra. A betegség legsúlyosabb tüneteit a vesén lerakódó és azt károsító AA fehérjék okozzák.

#### **Milyen hatásmechanizmust vártak a Kiacta-tól?**

A Kiacta hatóanyagától, az eprodisate disodiumtól azt a hatást várták, hogy meggátolja az AA fibrillumok képződését, ezáltal megakadályozva a szerveken való lerakódást és azok károsodását.

#### **Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a CHMP-nek a kérelem alátámasztására?**

A Kiacta hatását először kísérleti modelleken tesztelték, mielőtt embereken próbálták volna ki. A Kiacta hatásosságát egy fő vizsgálatban, 183, AA amyloidosis-ban szenvedő beteg bevonásával, placebo (hatóanyag nélküli kezelés) hatásosságával összehasonlítva tanulmányozták. A hatásosság fő mércéje azoknak a betegeknek a száma volt, akiknél a vesefunkció jelentősen rosszabodott, illetve akik a kétéves kezelés során elhaláloztak.

#### **A visszavonás előtt meddig jutott el a kérelem az elbírálási folyamatban?**

Az értékelés befejeződött, és a CHMP negatív szakvéleményt adott. A vállalat a negatív szakvélemény felülvizsgálatát kérte, ez azonban még nem fejeződött be, amikor visszavonta a kérelmét.

#### **Mit tartalmazott a CHMP ajánlása az adott időpontban?**

A visszavonás időpontjában, az adatok és a vállalat által a CHMP listáján szereplő kérdésekre adott válaszok áttekintése alapján, a CHMP negatív szakvéleményt adott, és nem javasolta a Kiacta forgalomba hozatali engedélyének kiadását az AA amyloidosis kezelésére.

**Mik voltak a CHMP fő aggályai?**

A CHMP aggályosnak fejezte ki, hogy a Kiacta hatásossága az AA amyloidosis kezelésében nem került elégségesen bizonyításra az egyetlen fő vizsgálatban. Bár volt olyan javaslat, hogy a Kiacta hatásos lehet, a bizottság azt a következtetést vonta le, hogy még egy vizsgálatra lenne szükség a gyógyszer hatásosságának bizonyításához.

Továbbá annak a telephelynek az ellenőrzését követően, ahol a vizsgálat adatait elemezték, a CHMP kétségbe vonta a vizsgálat megállapításainak megbízhatóságát az elemzés végrehajtásának körülményei miatt.

Ezek alapján a CHMP véleménye a visszavonás időpontjában az volt, hogy a Kiacta előnyeit nem bizonyították kellő mértékben, és az esetleges előnyök nem haladták meg az azonosított kockázatokat.

**Mivel indokolta a vállalat a kérelem visszavonását?**

A vállalatnak az EMEA-t a kérelem visszavonásáról értesítő levele [itt](#) található.

**Milyen következményekkel jár a visszavonás azokra a betegekre nézve, akik részt vettek a Kiacta-val folytatott klinikai vizsgálatokban?**

A vállalat arról tájékoztatta a CHMP-t, hogy a Kiacta-val folyamatban lévő vizsgálatot leállítják, hogy lehetővé váljon a Kiacta-t placebóval összehasonlító második vizsgálat elvégzése. Amennyiben Ön klinikai vizsgálatban vesz részt, és további információra van szüksége a kezelésével kapcsolatban, kérjük, forduljon kezelőorvosához!