



**DOMANDE E RISPOSTE SUL RITIRO DELLA DOMANDA DI AUTORIZZAZIONE  
ALL'IMMISSIONE IN COMMERCIO  
per  
KIACTA**

Denominazione comune internazionale (DCI): *eprodisato sodico*

Il 13 marzo 2008 la ditta *Neurochem Luxco II SARL* ha notificato ufficialmente al comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) dell'EMA la sua intenzione di ritirare la domanda di autorizzazione all'immissione in commercio per il medicinale Kiacta. L'indicazione oggetto della domanda era il trattamento dell'amiloidosi AA. Kiacta è stato qualificato medicinale orfano il 31 luglio 2001.

**Che cos'è Kiacta?**

Kiacta è un farmaco contenente il principio attivo eprodisato disodico. Il medicinale era disponibile in capsule.

**Per che cosa avrebbe dovuto essere usato Kiacta?**

Kiacta avrebbe dovuto essere usato nel trattamento dell'amiloidosi AA. L'amiloidosi AA è una patologia rara e potenzialmente fatale che compare in alcuni pazienti con malattie infiammatorie di lunga durata, più comunemente riconducibile all'artrite reumatoide. L'amiloidosi AA è causata dal deposito di fibrille non solubili (sottili filamenti) della proteina amiloide A (AA) negli organi del corpo. I frammenti proteici AA sono prodotti nell'organismo dalla proteina siero amiloide A (SAA), che viene secreta dalle cellule epatiche in risposta ad un'infezione. I sintomi più gravi della malattia vengono causati dal deposito di AA che si accumula nei reni danneggiandoli.

**Come avrebbe agito Kiacta?**

Il principio attivo di Kiacta, l'eprodisato disodico, avrebbe dovuto agire inibendo la formazione delle fibrille di AA, impedendone quindi l'accumulo nei vari organi. Tale meccanismo avrebbe dovuto impedire agli organi di deteriorarsi.

**Qual la documentazione ha presentato la ditta al CHMP a sostegno della domanda?**

Gli effetti di Kiacta sono stati analizzati in modelli sperimentali prima di essere studiati sugli esseri umani. L'efficacia di Kiacta è stata studiata in uno studio principale, nel quale il farmaco è stato comparato ad un placebo (trattamento fittizio). Lo studio ha interessato 183 pazienti affetti da amiloidosi AA, e la principale misura dell'efficacia del medicinale è stata il numero di soggetti le cui funzioni renali sono notevolmente peggiorate o che sono deceduti nel corso dei due anni di terapia.

**A che punto della valutazione si trovava la domanda quando è stata ritirata?**

La valutazione era stata conclusa e il CHMP aveva espresso parere negativo. La ditta aveva chiesto un riesame del parere negativo, che non era ancora stato ultimato allorché la domanda è stata ritirata.

**Qual era la raccomandazione del CHMP a quel punto?**

In base all'esame dei dati e delle risposte fornite dalla ditta all'elenco di domande formulate dal CHMP, al momento del ritiro della domanda il CHMP aveva espresso parere negativo e non aveva raccomandato il rilascio dell'autorizzazione all'immissione in commercio di Kiacta per il trattamento dell'amiloidosi AA.

**Quali erano i principali dubbi del CHMP?**

Il CHMP ha espresso la preoccupazione che l'efficacia di Kiacta nel trattamento dell'amiloidosi AA non fosse stata sufficientemente dimostrata nel solo studio principale. Sebbene ci fossero indicazioni di una probabile efficacia di Kiacta, il comitato ha concluso che per dimostrare l'efficacia del medicinale sarebbe stato necessario un altro studio. Inoltre, in seguito ad un'ispezione del sito dove venivano analizzati i dati provenienti dallo studio, il CHMP ha espresso riserve sulla affidabilità dei risultati dello studio a causa delle metodologie di analisi. Pertanto, al momento del ritiro della domanda, era opinione del CHMP che i benefici di Kiacta non fossero stati sufficientemente dimostrati e che comunque non fossero superiori ai rischi identificati.

**Quali sono i motivi esposti dalla ditta per il ritiro della domanda?**

La lettera con cui la ditta comunica all'EMA il ritiro della domanda è disponibile [qui](#).

**Quali sono le conseguenze del ritiro per i pazienti inseriti in studi clinici con Kiacta?**

La ditta ha informato il CHMP che gli studi clinici incorso con Kiacta sarebbero stati interrotti, al fine di effettuare un secondo studio per comparare *Kiacta* con un placebo. Le persone inserite in uno studio clinico che abbiano bisogno di maggiori informazioni sulla loro terapia sono pregate di rivolgersi al medico che le sta trattando.