



**VRAGEN EN ANTWOORDEN INZAKE INTREKKING VAN DE AANVRAAG VAN EEN  
VERGUNNING VOOR HET IN DE HANDEL BRENGEN  
van  
KIACTA**

Algemene internationale benaming (INN): *eprodisatenatrium*

Op 13 maart 2008 heeft de firma Neurochem Luxco II SARL het Comité voor geneesmiddelen voor menselijk gebruik (CHMP) officieel op de hoogte gebracht van haar beslissing om haar aanvraag van een vergunning voor het in de handel brengen van Kiacta in te trekken. Kiacta was bedoeld voor de behandeling van amyloïd A-amyloïdose. Kiacta werd op 31 juli 2001 aangewezen als weesgeneesmiddel.

**Wat is Kiacta?**

Kiacta is een geneesmiddel dat de werkzame stof eprodisatedinatrium bevat. Het zou verkrijgbaar zijn geworden in de vorm van capsules.

**Voor welke behandeling was Kiacta bedoeld?**

Kiacta was bedoeld voor de behandeling van amyloïd A-amyloïdose, een zeldzame, levensbedreigende ziekte die voorkomt bij patiënten met een lang aanhoudende ontsteking, meestal als gevolg van reumatoïde artritis. Amyloïd A-amyloïdose wordt veroorzaakt doordat zich in de organen van het lichaam onoplosbare 'vezeltjes' (fijne draadjes) van het eiwit 'amyloïd A' (AA) opbouwen. AA wordt in het lichaam gevormd uit een bepaald eiwit, het zogenaamde 'serum amyloïd A', dat als reactie op een ontsteking door de levercellen wordt afgegeven. De ernstigste verschijnselen van de ziekte worden veroorzaakt door de afzetting van AA in de nieren, waardoor die worden beschadigd.

**Hoe wordt verwacht dat Kiacta gaat werken?**

De werkzame stof in Kiacta, eprodisatedinatrium, zou naar verwachting ingrijpen bij de vorming van AA-vezeltjes waardoor die zich niet kunnen opbouwen in de organen. Dat zou dan orgaanbeschadiging helpen voorkomen.

**Welke documentatie heeft de firma ingediend als ondersteuning van de aanvraag?**

De werking van Kiacta werd eerst in proefmodellen getest voordat deze bij mensen werd onderzocht. De werkzaamheid van Kiacta is bestudeerd in één belangrijk onderzoek met 183 patiënten met AA-amyloïdose, waarbij Kiacta werd vergeleken met placebo (een schijnbehandeling). De belangrijkste maatstaf voor de werkzaamheid was het aantal patiënten bij wie de werking van de nieren aanzienlijk verslechterde of die in de loop van de twee jaar durende behandeling overleden.

**In welke beoordelingsfase werd de aanvraag ingetrokken?**

De beoordeling was afgerond en het CHMP had een negatief advies uitgebracht. De firma had verzocht het negatieve advies opnieuw te onderzoeken, maar dit proces was nog niet afgerond toen de firma de aanvraag introk.

**Wat was de aanbeveling van het CHMP op dat moment?**

Op basis van de bestudering van de informatie en het antwoord van de firma op de vragenlijst van het CHMP had het Comité op het ogenblik van de intrekking een negatief advies uitgebracht en gaf het geen aanbeveling voor een handelsvergunning van Kiacta voor de behandeling van AA-amyloïdose.

**Wat waren de belangrijkste bedenkingen van het CHMP?**

Het CHMP was van oordeel dat de werkzaamheid van Kiacta voor de behandeling van AA-amyloïdose niet voldoende was aangetoond in het enige belangrijke onderzoek dat was uitgevoerd. Hoewel er een aanwijzing was dat Kiacta werkzaam zou kunnen zijn, concludeerde het Comité toch dat een aanvullend onderzoek nodig was om de werkzaamheid van het geneesmiddel aan te tonen. Bovendien had het CHMP, na inspectie van de plaats waar de gegevens van het onderzoek waren geanalyseerd, bedenkingen bij de betrouwbaarheid van de onderzoeksresultaten wegens de manier waarop de analyse was uitgevoerd.

Daarom was het CHMP op het tijdstip van de intrekking van mening dat een voordeel van Kiacta onvoldoende was aangetoond en niet opwoog tegen de vastgestelde risico's.

**Welke redenen gaf de firma voor het intrekken van de aanvraag?**

De brief waarin de firma het EMEA op de hoogte brengt van de intrekking van de aanvraag is [hier](#) te vinden.

**Welke gevolgen heeft de intrekking voor patiënten die deelnemen aan klinische proeven met Kiacta?**

De firma heeft het CHMP laten weten dat de lopende klinische proef met Kiacta is stopgezet zodat zij een tweede onderzoek kan uitvoeren om Kiacta met placebo te vergelijken. Indien u deelneemt aan een klinische proef en meer informatie wenst over uw behandeling, neemt u dan contact op met uw behandelend arts.