



**PYTANIA I ODPOWIEDZI DOTYCZĄCE WYCOFANIA WNIOSKU O DOPUSZCZENIE
DO OBROTU
dotyczące preparatu
KIACTA**

Nieopatentowana nazwa międzynarodowa: *eprodyzat sodowy*

Dnia 13 marca 2008 r. firma Neurochem Luxco II SARL oficjalnie powiadomiła Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) o zamiarze wycofania wniosku o dopuszczenie do obrotu preparatu Kiacta, przeznaczonego do leczenia amyloidozy AA. W dniu 31 lipca 2001 r. preparat Kiacta został oznaczony jako sierocy produkt leczniczy.

Co to jest Kiacta?

Kiacta jest lekiem, który zawiera substancję czynną eprodyzat disodowy. Preparat miał być dostępny w postaci kapsułek.

W jakim celu miał być stosowany preparat Kiacta?

Preparat Kiacta miał być stosowany w leczeniu amyloidozy AA. Jest to rzadka, zagrażająca życiu choroba występująca u pacjentów z długotrwałym zapaleniem, zazwyczaj spowodowanym przez reumatoidalne zapalenie stawów. Amyloidoza AA jest spowodowana gromadzeniem się nierozpuszczalnych włókienek (cienkich włókien) białka zwanego „amyloidem A” (AA) w organach ciała. AA jest wytwarzany w organizmie z białka zwanego „surowicznym amyloidem A”, który jest uwalniany do komórek wątroby w odpowiedzi na zapalenie. Najpoważniejsze objawy choroby są spowodowane odkładaniem się AA w nerkach i ich uszkodzeniem.

Jakie jest oczekiwane działanie preparatu Kiacta?

Działanie substancji czynnej preparatu Kiacta, eprodyzatu disodowego, powinno polegać na zakłóceniu wytwarzania włókienek AA, co zapobiega odkładaniu się tego białka w organach. Powinno to pomagać w zapobieganiu uszkodzeniu organów.

Jaka dokumentacja została przedstawiona przez firmę na poparcie wniosku złożonego do CHMP?

Zanim przeprowadzono badania na ludziach, działanie preparatu Kiacta zbadano w modelach eksperymentalnych.

Skuteczność preparatu Kiacta oceniano w jednym głównym badaniu obejmującym 183 pacjentów z amyloidozą AA, w którym preparat Kiacta porównano z placebo (leczenie obojętne). Główną miarą skuteczności była liczba pacjentów, u których czynność nerek uległa znacznego pogorszeniu lub którzy zmarli w ciągu dwóch lat leczenia.

Na jakim etapie znajdowała się ocena w momencie wycofania wniosku?

Ocena wniosku została zakończona, a CHMP wydał negatywną opinię. Firma zwróciła się z prośbą o powtórny weryfikację negatywnej opinii, lecz wycofała wniosek przed zakończeniem weryfikacji.

Jakie zalecenie wydał wówczas CHMP?

W oparciu o przegląd danych oraz odpowiedzi firmy na listę pytań wystosowanych przez CHMP, w momencie wycofania wniosku, opinia wydana przez CHMP była negatywna i Komitet nie zalecił wydania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu preparatu Kiacta w leczeniu amyloidozy AA.

Jakie były główne zastrzeżenia CHMP?

CHMP wyraził obawę, że w jedynym, głównym badaniu nie wykazano w wystarczającym stopniu skuteczności preparatu Kiacta w leczeniu amyloidozы AA. Pomimo sugestii, że Kiacta może mieć pożądane działanie, Komitet stwierdził, że do wykazania skuteczności leku potrzebne będzie kolejne badanie.

Ponadto w następstwie kontroli na miejscu analizy danych zastosowanych w badaniu, CHMP ma zastrzeżenia co do wiarygodności wyników badania, w związku ze sposobem przeprowadzenia analizy. Dlatego też w momencie wycofania, według CHMP, nie wykazano w wystarczającym stopniu korzyści związanych ze stosowaniem preparatu Kiacta i nie przeważały one nad rozpoznany ryzykiem.

Jakie przyczyny wycofania wniosku podała firma?

Pismo od firmy powiadamiające EMEA o wycofaniu wniosku jest dostępne [tutaj](#).

Jakie są skutki wycofania wniosku dla pacjentów uczestniczących w badaniach klinicznych z użyciem preparatu Kiacta?

Firma poinformowała CHMP, że zaprzestano prowadzenia badań klinicznych z użyciem preparatu Kiacta, aby można było przeprowadzić drugie badanie w celu porównania preparatu Kiacta z placebo. W przypadku uczestnictwa w badaniach klinicznych i potrzeby uzyskania dokładniejszych informacji o leczeniu, należy skontaktować się z lekarzem prowadzącym.