



**FRÅGOR OCH SVAR OM ÅTERKALLANDET AV ANSÖKAN OM GODKÄNNANDE FÖR
FÖRSÄLJNING
för
KIACTA**

Internationellt generiskt namn (INN): *natriumeprodisat*

Den 13 mars 2008 anmälde Neurochem Luxco II SARL officiellt till Kommittén för humanläkemedel (CHMP) att man önskar dra tillbaka sin ansökan om godkännande för försäljning av Kiacta för behandling av amyloid A-amyloidos (AA-amyloidos). Kiacta klassificerades som säräkemedel den 31 juli 2001.

Vad är Kiacta?

Kiacta är ett läkemedel som innehåller den aktiva substansen dinatriumeprodisat. Det var tänkt att finnas som kapslar.

Vad skulle Kiacta användas för?

Kiacta skulle användas för behandling av AA-amyloidos. Det är en ovanlig, livshotande sjukdom som inträffar hos patienter med långdragna inflammationstillstånd, vilka oftast beror på reumatoid artrit (ledgångsreumatism). Amyloid A-amyloidos orsakas av att det inlagras olösliga "fibriller" (fina trådar) av ett protein som kallas "amyloid A" (AA) i kroppens organ. AA produceras i kroppen från ett protein som kallas "serumamyloid A". Det frisätts av levercellerna som en reaktion på en inflammation. De allvarligaste sjukdomssymtomen orsakas av att amyloid A inlagras i njurarna och skadar dem.

Hur är det tänkt att Kiacta ska verka?

Den aktiva substansen i Kiacta, dinatriumeprodisat, är tänkt att verka genom att störa bildandet av AA-fibriller och därmed hindra att de inlagras i organen. Detta ska bidra till att förhindra skador på organen.

Vilken dokumentation har företaget lämnat till CHMP som stöd för sin ansökan?

Effekterna av Kiacta prövades först i olika experimentmodeller innan de studerades på människor. Effekten av Kiacta undersöktes i en huvudstudie som omfattade 183 patienter med AA-amyloidos. I studien jämfördes Kiacta med placebo (overksam behandling). Huvudmålet på effekt var antalet patienter vars njurfunktion betydligt försämrades eller som avled under de två behandlingsåren.

Hur långt hade utvärderingen kommit när ansökan drogs tillbaka?

Utvärderingen hade avslutats och CHMP hade avgett ett negativt yttrande. Företaget hade begärt en omprövning av det negativa yttrandet, men denna var ännu inte slutförd när företaget drog tillbaka sin ansökan.

Vad rekommenderade CHMP vid den tidpunkten?

Efter genomgången av de inlämnade uppgifterna och företagets svar på CHMP:s frågelista hade CHMP vid tidpunkten för återkallandet avgett ett negativt yttrande och rekommenderade att Kiacta inte skulle godkännas för försäljning för behandling av AA-amyloidos.

Vilka var CHMP:s främsta betänkligheter?

CHMP oroades över att effekten av Kiacta vid behandling av AA-amyloidos inte hade bevisats i tillräcklig grad i den enda huvudstudie som genomförts. Även om en antydning gjordes att Kiacta kanske är verksamt konstaterade kommittén att ytterligare en studie krävdes för att visa läkemedlets effekt.

Efter en inspektion av att platsen där uppgifterna från studien hade undersökts ifrågasatte kommittén huruvida studiens resultat var tillförlitliga med tanke på det sätt som undersökningen hade utförts på. Vid tidpunkten för återkallandet ansåg därför CHMP att nyttan med Kiacta inte hade bevisats i tillräcklig grad och att eventuella fördelar inte uppvägs de identifierade riskerna.

Vilka skäl angav företaget till att dra tillbaka sin ansökan?

Företagets skrivelse till EMEA om sin önskan att dra tillbaka ansökan finns [här](#).

Vilka följder får återkallandet för patienter som deltar i kliniska prövningar med Kiacta?

Företaget meddelade CHMP att den pågående kliniska prövningen med Kiacta ska avbrytas, så att man kan genomföra en andra studie för att jämföra Kiacta med placebo. Om du deltar i en klinisk prövning och behöver mer information om din behandling ska du kontakta den läkare som ger dig läkemedlet.