



24. juni 2016
EMA/430267/2016
EMEA/H/C/003936

Spørgsmål og svar

Tilbagetrækning af ansøgningen om markedsføringstilladelse for Arikayce (amikacin)

Den 8. juni 2016 meddelte Insmad Limited officielt Udvalget for Lægemidler til Mennesker (CHMP), at virksomheden ønsker at trække sin ansøgning om markedsføringstilladelse for Arikayce til behandling af lungesygdommen *Mycobacterium avium* complex (MAC) tilbage.

Hvad er Arikayce?

Arikayce er et antibiotikum, der indeholder det aktive stof amikacin. Det var hensigten, at det skulle leveres som suspension til inhalation.

Hvad forventedes Arikayce anvendt til?

Arikayce var beregnet til at behandle voksne patienter med en lungeinfektion forårsaget af *Mycobacterium avium* complex (MAC), der er en gruppe bakterier, som findes i miljøet, f.eks. i jorden og i vand. Lægemidlet skulle bruges hos patienter, hvis infektion fortsatte på trods af tidligere behandling.

Arikayce blev udpeget som lægemiddel til sjældne sygdomme den 8. april 2014 til behandling af infektioner forårsaget af MAC og lignende bakterier. Yderligere oplysninger om udpegelsen til lægemiddel til sjældne sygdomme findes [her](#).

Hvordan forventes Arikayce at virke?

Det aktive stof i Arikayce, amikacin, er et velkendt antibiotikum i gruppen af aminoglykosider, som virker ved at forstyrre bakteriernes produktion af vitale proteiner. I dette lægemiddel er amikacin indeholdt i liposomer, dvs. mikroskopiske fedtkapsler. Liposomerne bidrager til at reducere den hastighed, med hvilken det aktive stof nedbrydes, og det gør det muligt for stoffet at blive i kroppen i længere tid. Da lægemidlet inhaleres, når det lungerne på en mere direkte måde end ved injektion.



Hvilken dokumentation fremlagde virksomheden i forbindelse med ansøgningen?

Virksomheden indsendte resultaterne af en tidlig undersøgelse (fase 2) af 89 voksne patienter med lungeinfektion forårsaget af MAC eller lignende bakterier. I denne undersøgelse blev Arikayce sammenlignet med placebo (et ikke-aktivt stof), og et af hovedformålene med undersøgelsen var at undersøge, hvor effektivt lægemidlet fjerner bakterier fra patienternes opspyt efter 3 måneders behandling.

Hvor langt var vurderingen af ansøgningen nået, da den blev trukket tilbage?

Ansøgningen blev trukket tilbage, efter at CHMP havde vurderet den dokumentation, virksomheden havde fremlagt, og udarbejdet en liste med spørgsmål. Efter at CHMP havde vurderet virksomhedens besvarelse af den sidste runde spørgsmål, var der fortsat visse uafklarede punkter.

Hvad anbefalede CHMP på daværende tidspunkt?

På baggrund af gennemgangen af dataene og firmaets svar på CHMP's liste med spørgsmål var CHMP af den foreløbige opfattelse, at Arikayce ikke kunne godkendes til behandling af MAC-lungeinfektion. Udvalgets primære bekymring var, at den undersøgelse, der var blevet anvendt i ansøgningen, ikke indeholdt beviser nok for, at Arikayce permanent kan fjerne bakterierne fra patienternes ophost.

Derfor var CHMP på tidspunktet for tilbagetrækningen af den opfattelse, at fordelene ved Arikayce ikke opvejede risiciene.

Hvilke begrundelser gav virksomheden for tilbagetrækningen af ansøgningen?

I det brev, hvori virksomheden orienterer Udvalget om, at den trækker ansøgningen tilbage, angiver virksomheden, at dens beslutning er baseret på den opfattelse, at CHMP ikke ville anbefale godkendelsen af lægemidlet på grundlag af de aktuelle data. Brevet om tilbagetrækningen kan ses [her](#).

Hvilke konsekvenser har tilbagetrækningen for patienter, der deltager i kliniske undersøgelser med Arikayce?

Virksomheden har til CHMP oplyst, at beslutningen ikke vil få konsekvenser for patienter, der på nuværende tidspunkt deltager i kliniske undersøgelser med Arikayce. Hvis du deltager i en klinisk undersøgelse med Arikayce og har behov for mere information om din behandling, kan du kontakte den læge, der behandler dig.