



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

24 Ιουνίου 2016  
EMA/430267/2016  
EMA/H/C/003936

## Ερωτήσεις και απαντήσεις

---

# Απόσυρση της αίτησης για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας στο Arikayce (αμικασίνη)

Στις 8 Ιουνίου 2016, η Insmmed Limited κοινοποίησε επίσημα στην Επιτροπή Φαρμάκων για Ανθρώπινη Χρήση (CHMP) την πρόθεσή της να αποσύρει την αίτηση για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας για το Arikayce, το οποίο προορίζεται για τη θεραπεία της πνευμονικής νόσου από το σύμπλεγμα *Mycobacterium avium* (MAC).

## Τι είναι το Arikayce;

Το Arikayce είναι ένα αντιβιοτικό το οποίο περιέχει τη δραστική ουσία αμικασίνη. Επρόκειτο να διατεθεί υπό μορφή εναιωρήματος για εισπνοή.

## Σε ποιες περιπτώσεις επρόκειτο να χρησιμοποιηθεί το Arikayce;

Το Arikayce επρόκειτο να χρησιμοποιηθεί για τη θεραπεία ενηλίκων με πνευμονική λοίμωξη από το σύμπλεγμα *Mycobacterium avium* (MAC), μια ομάδα βακτηρίων που απαντούν συχνά στο περιβάλλον, όπως στο έδαφος και το νερό. Επρόκειτο να χρησιμοποιηθεί σε ασθενείς με εμμένουσα λοίμωξη παρά την προηγούμενη θεραπεία που έλαβαν.

Το Arikayce χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο το οποίο χρησιμοποιείται σε σπάνιες ασθένειες) στις 8 Απριλίου 2014 για τη θεραπεία λοιμώξεων οι οποίες προκαλούνται από MAC και παρόμοια βακτήρια. Περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τον χαρακτηρισμό των ορφανών φαρμάκων διατίθενται [εδώ](#).

## Ποια είναι η αναμενόμενη δράση του Arikayce;

Η δραστική ουσία του Arikayce, η αμικασίνη, είναι ένα καθιερωμένο αντιβιοτικό της ομάδας των «αμινογλυκοσιδών», το οποίο δρα διακόπτοντας τη βακτηριακή παραγωγή πρωτεϊνών ζωτικής σημασίας. Στο φάρμακο αυτό, η αμικασίνη περιέχεται σε μικροσκοπικά κυστίδια λίπους, γνωστά ως λιποσώματα.



Τα λιποσώματα αυτά συμβάλλουν στη μείωση του ρυθμού διάσπασης της δραστικής ουσίας, επιτρέποντάς της να παραμείνει στο σώμα για μεγαλύτερο χρονικό διάστημα. Καθώς το φάρμακο είναι εισπνεόμενο, φθάνει επίσης στους πνεύμονες πιο άμεσα από την αμικασίνη που χορηγείται ενέσιμα.

## **Τι είδους τεκμηρίωση υπέβαλε η παρασκευάστρια εταιρεία προς στήριξη της αίτησής της;**

Η εταιρεία υπέβαλε τα αποτελέσματα μιας πρώιμης μελέτης (φάσης 2) σε 89 ενήλικες ασθενείς με πνευμονικές λοιμώξεις προκαλούμενες από MAC ή παρόμοια βακτήρια. Στη μελέτη αυτή έγινε σύγκριση του Arikayce με εικονικό φάρμακο (εικονική θεραπεία) και εξετάστηκε κυρίως πόσο αποτελεσματικά απομάκρυνε το φάρμακο τα βακτήρια από τα πτύελα (φλέγμα) των ασθενών μετά από περίπου 3 μήνες θεραπείας.

## **Σε ποιο στάδιο της αξιολόγησης βρισκόταν η αίτηση τη στιγμή της απόσυρσης;**

Η αίτηση αποσύρθηκε αφού η CHMP είχε αξιολογήσει την τεκμηρίωση που υποβλήθηκε από την εταιρεία και είχε καταρτίσει κατάλογο ερωτήσεων. Αφότου η CHMP ολοκλήρωσε την αξιολόγηση των απαντήσεων της εταιρείας στον τελευταίο γύρο ερωτήσεων, εκκρεμούσαν ακόμη ορισμένα ζητήματα.

## **Ποια ήταν η σύσταση της CHMP τη στιγμή της απόσυρσης;**

Βάσει της εξέτασης των υποβληθέντων στοιχείων και της απάντησης της εταιρείας στους καταλόγους ερωτήσεων της CHMP, η CHMP διατύπωσε την προσωρινή γνώμη ότι δεν ήταν δυνατόν να δοθεί έγκριση στο Arikayce για τη θεραπεία της πνευμονικής λοίμωξης από MAC. Η σημαντικότερη ανησυχία της Επιτροπής ήταν το γεγονός ότι η μελέτη που υποβλήθηκε με την αίτηση δεν παρείχε επαρκή στοιχεία για την ικανότητα του Arikayce να απομακρύνει μόνιμα τα βακτήρια από τα πτύελα των ασθενών.

Ως εκ τούτου, τη στιγμή της απόσυρσης, η CHMP διατύπωσε τη γνώμη ότι τα οφέλη του Arikayce δεν υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό.

## **Ποιοι ήταν οι λόγοι απόσυρσης της αίτησης που παρέθεσε η εταιρεία;**

Στην επιστολή της με την οποία κοινοποιεί στον Οργανισμό την απόσυρση, η εταιρεία ανέφερε ότι η απόφασή της βασίζεται στην προϋπόθεση ότι η CHMP δεν επρόκειτο να συστήσει την έγκριση του φαρμάκου με βάση τα τρέχοντα στοιχεία. Η επιστολή απόσυρσης διατίθεται [εδώ](#).

## **Ποιες είναι οι επιπτώσεις από την απόσυρση της αίτησης στους ασθενείς που συμμετέχουν σε κλινικές δοκιμές;**

Η εταιρεία ενημέρωσε την CHMP ότι δεν υπάρχουν συνέπειες για τους ασθενείς που συμμετέχουν επί του παρόντος σε κλινικές δοκιμές με το Arikayce. Εάν συμμετέχετε σε κλινική δοκιμή και χρειάζεστε περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη θεραπεία σας, συμβουλευθείτε τον θεράποντα ιατρό σας.