



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

24. kesäkuuta 2016
EMA/430267/2016
EMA/566707/2015EMEA/H/C/003936

Kysymyksiä ja vastauksia

Lääkevalmisteen Arikayce (amikasiini) myyntilupahakemuksen peruuttaminen

Insmmed Limited -yhtiö ilmoitti 8. kesäkuuta 2016 virallisesti lääkevalmistekomitealle (CHMP) haluavansa peruuttaa Arikayce-nimistä lääkevalmistetta koskevan myyntilupahakemuksen. Käyttöaihe oli *Mycobacterium avium* complex (MAC) -keuhkosairauden hoito.

Mitä Arikayce on?

Arikayce on antibiootti, jonka vaikuttava aine on amikasiini. Sitä oli tarkoitus olla saatavana suspensiona inhalaatiota varten.

Mihin Arikaycea oli tarkoitus käyttää?

Arikaycea oli tarkoitus käyttää aikuisten *Mycobacterium avium* complex (MAC) -nimisten bakteerien aiheuttaman keuhkoinfektion hoitoon. Näitä bakteereja tavataan yleensä ympäristössä, kuten maaperässä ja vedessä. Sitä oli määrä käyttää potilailla, joiden infektio ei ollut parantunut aiemmasta hoidosta huolimatta.

Arikayce määriteltiin MAC-bakteerien ja muiden samankaltaisten bakteerien aiheuttamien infektioiden hoitoon tarkoitetuksi harvinaislääkkeeksi (harvinaisen sairauden hoitoon tarkoitettu lääke) 8. huhtikuuta 2014. Lisätietoja harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on [tässä](#).

Miten Arikaycen odotettiin vaikuttavan?

Arikaycen vaikuttava aine, amikasiini, on aminoglykosidien ryhmään kuuluva hyvin tunnettu antibiootti, joka vaikuttaa häiritsemällä tärkeiden proteiinien bakteerien tuotantoa. Tässä lääkkeessä amikasiini on hyvin pienten rasvakapseleiden eli liposomien sisällä. Nämä liposomit vähentävät vaikuttavan aineen hajoamisnopeutta, joten se säilyy verenkierrossa pidempään. Koska lääke otetaan



hengittämällä sitä sisään, sen eteneminen keuhkoihin on suurempaa verrattuna injektiona annettuun amikasiiniin.

Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?

Yhtiö toimitti tulokset varhaisvaiheen (vaiheen 2) tutkimuksesta. Siihen osallistui 89 aikuista potilasta, joilla oli MAC:n tai samankaltaisten bakteerien aiheuttamia keuhkoinfektioita. Tässä tutkimuksessa Arikaycea verrattiin lumelääkkeeseen, ja siinä tarkasteltiin pääasiassa sitä, miten tehokkaasti lääke oli poistanut bakteereja potilaan ysköksistä (lima) noin kolmen kuukauden mittaisen hoidon jälkeen.

Miten pitkällä hakemuksen arviointi oli sen peruuttamishetkellä?

Hakemus peruutettiin sen jälkeen, kun lääkevalmistekomitea oli arvioinut yhtiön toimittamat asiakirjat ja laatinut kysymysluettelon. Kun lääkevalmistekomitea oli arvioinut yhtiön viimeisimpiin kysymyksiin antamat vastaukset, joitakin seikkoja oli vielä selvittämättä.

Mikä oli lääkevalmistekomitean suositus tuolloin?

Tietojen ja yritykseltä kysymysluetteloonsa saamiensa vastausten arvioinnin perusteella lääkevalmistekomitean alustavana kantana oli, ettei Arikaycea olisi voitu hyväksyä MAC-keuhkoinfektion hoitoon. Komitean suurin huolenaihe oli se, että myyntilupahakemuksen mukana toimitetusta tutkimuksesta ei saatu tarpeeksi näyttöä siitä, että Arikayce pystyy poistamaan bakteerit potilaan ysköksistä pysyvästi.

Siksi lääkevalmistekomitea katsoi hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, ettei Arikaycen hyöty ole sen riskejä suurempi.

Mistä syistä yhtiö peruutti hakemuksen?

Kirjeessään, jossa yhtiö ilmoittaa virastolle myyntilupahakemuksen peruuttamisesta, se toteaa, että sen päätös perustuu siihen, ettei lääkevalmistekomitea aikonut suositella lääkkeen hyväksymistä nykyisten tietojen perusteella. Yhtiön kirje hakemuksen peruuttamisesta on luettavissa [tässä](#).

Mitä seurauksia tämän hakemuksen peruuttamisesta on kliinisiin tutkimuksiin osallistuville potilaille?

Yritys ilmoitti lääkevalmistekomitealle, ettei peruuttamisesta ole mitään seurauksia potilaille, jotka osallistuvat Arikaycea koskeviin kliinisiin tutkimuksiin. Jos olet mukana kliinisessä tutkimuksessa ja tarvitset lisätietoa hoidostasi, ota yhteyttä hoitavaan lääkäriin.