



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2016. június 24.
EMA/430267/2016
EMA/H/C/003936

Kérdések és válaszok

Az Arikayce-ra (amikacin) vonatkozó forgalomba hozatali engedély iránti kérelem visszavonása

2016. június 8-án az Insmmed Limited hivatalosan értesítette az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottságát (CHMP), hogy vissza kívánja vonni a *Mycobacterium avium* komplex (MAC) által okozott tüdőbetegség kezelésére szánt Arikayce-ra vonatkozó forgalomba hozatali engedély iránti kérelmét.

Milyen típusú gyógyszer az Arikayce?

Az Arikayce egy antibiotikum, amely hatóanyagként amikacint tartalmaz. Inhalációs szuszpenzió formájában kívánták forgalomba hozni.

Milyen alkalmazásra szánták a Arikayce-t?

Az Arikayce-t a *Mycobacterium avium* komplex (MAC) által okozott tüdőfertőzésekben szenvedő felnőttek kezelésére szánták. Ez a baktériumcsoport gyakran előfordul a környezetben, például a talajban és a vízben. A gyógyszert azoknál a betegeknél tervezték alkalmazni, akiknek a fertőzése a korábbi kezelés ellenére fennállt.

Az Arikayce 2014. április 8-án a MAC és hasonló baktériumok által okozott fertőzések tekintetében „ritka betegségek gyógyszere” (ritka betegségekben használatos gyógyszer) minősítést kapott. A ritka betegség gyógyszerekénti minősítésről további információ [itt](#) található.

Milyen hatásmechanizmust vártak a Arikayce-től?

Az Arikayce hatóanyaga, az amikacin egy jól megalapozott antibiotikum az „aminoglikozidok” csoportból, amely azáltal fejt ki hatását, hogy megszakítja a létfontosságú fehérjék termelését a baktériumban. Ebben a gyógyszerben az amikacin mikroszkopikus zsírkapszulákban, úgynevezett liposzómákban található. Ezek a liposzómák csökkentik a hatóanyag lebomlásának sebességét, és



ezáltal lehetővé teszik, hogy a hatóanyag hosszabb ideig maradjon a szervezetben. Mivel a gyógyszert be kell lélegezni, közvetlenebbül éri el a tüdőt, mint az injekcióban adott amikacin.

Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a kérelem alátámasztására?

A vállalat egy korai (II-es fázisú) vizsgálat vizsgálat eredményeit nyújtotta be, amelyben 89, MAC vagy hasonló baktériumok által okozott tüdőfertőzésben szenvedő, felnőtt beteg vett részt. Ez a vizsgálat az Arikayce-t placebóval (hatóanyag nélküli kezelés) hasonlította össze, és főként azt vizsgálta, hogy a gyógyszer milyen hatékonyan távolítja el a baktériumokat a betegek köpetéből (váladék) körülbelül 3 hónapos kezelést követően.

A visszavonás előtt meddig jutott el a kérelem az elbírálási folyamatban?

A kérelmet azután vonták vissza, miután a CHMP már értékelte a vállalat által benyújtott dokumentációt, és kidolgozta a kérdéslistákat. Azt követően, hogy a CHMP értékelte a vállalatnak az utolsó kérdéssorra adott válaszait, még mindig maradt néhány megoldatlan kérdés.

Mit tartalmazott a CHMP ajánlása az adott időpontban?

Az adatok és a vállalat által a CHMP listáin szereplő kérdésekre adott válaszok áttekintése alapján a CHMP ideiglenes véleménye az volt, hogy az Arikayce alkalmazása nem engedélyezhető a MAC által okozott tüdőfertőzés kezelésére. A bizottság fő aggálya az volt, hogy a kérelemben benyújtott vizsgálat nem nyújtott elegendő bizonyítékot arra vonatkozóan, hogy az Arikayce tartósan eltávolítja a baktériumokat a betegek köpetéből.

Ezért a visszavonás időpontjában a CHMP meglátása szerint a Arikayce előnyei nem haladták meg a kockázatokat.

Mivel indokolta a vállalat a kérelem visszavonását?

Az Ügynökséget a kérelem visszavonásáról értesítő levelében a vállalat úgy nyilatkozott, hogy döntése annak megértésén alapul, hogy jelenlegi adatok alapján a CHMP nem fogja javasolni a gyógyszer engedélyezését. A visszavonásról szóló levél [itt](#) olvasható.

Milyen következményekkel jár a visszavonás azokra a betegekre nézve, akik részt vettek a klinikai vizsgálatokban?

A vállalat tájékoztatta a CHMP-t, hogy nincs következmény az Arikayce-vel végzett klinikai vizsgálatokban jelenleg részt vevő betegekre nézve. Ha Ön ilyen klinikai vizsgálatban vesz részt, és kezelését illetően további információra van szüksége, vegye fel a kapcsolatot kezelőorvosával!