



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Domande e risposte

Ritiro della domanda di autorizzazione all'immissione in commercio per Arikayce (amikacina)

L'8 giugno 2016, Insmmed Limited ha notificato ufficialmente al comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) la sua intenzione di ritirare la domanda di autorizzazione all'immissione in commercio per Arikayce, per il trattamento della malattia polmonare causata da *Mycobacterium avium* complex (MAC).

Che cos'è Arikayce?

Arikayce è un antibiotico contenente il principio attivo amikacina. Avrebbe dovuto essere disponibile sotto forma di sospensione per inalazione.

Per che cosa avrebbe dovuto essere usato Arikayce?

Arikayce avrebbe dovuto essere usato per trattare adulti con infezione polmonare causata da *Mycobacterium avium* complex (MAC), un gruppo di batteri che si trova comunemente nell'ambiente, per esempio nel suolo e nell'acqua. Avrebbe dovuto essere usato in pazienti con infezione persistente nonostante un trattamento precedente.

Arikayce è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) l'8 aprile 2014, per il trattamento di infezioni causate da MAC e batteri simili. Ulteriori informazioni sulla designazione di medicinale orfano sono disponibili al seguente [indirizzo](#).

Come avrebbe dovuto agire Arikayce?

Il principio attivo in Arikayce, l'amikacina, è un noto antibiotico del gruppo degli "aminoglicosidi" che agisce alterando la produzione batterica di proteine vitali. In questo medicinale, l'amikacina è contenuta all'interno di capsule microscopiche di grasso denominate liposomi. Questi liposomi favoriscono la riduzione della velocità di scomposizione del principio attivo e ne prolungano la



permanenza all'interno dell'organismo. Inoltre, questo medicinale si assume per inalazione, pertanto raggiunge i polmoni in maniera più diretta rispetto all'amikacina somministrata per iniezione.

Quale documentazione ha presentato la ditta a sostegno della domanda?

La ditta ha presentato i risultati di uno studio preliminare (di fase 2) condotto su 89 pazienti adulti con infezioni polmonari causate da MAC o batteri simili. Questo studio ha paragonato Arikayce con il placebo (un trattamento fittizio) valutando, principalmente, quanto efficacemente il medicinale eliminava i batteri dallo sputo del paziente (muco) dopo circa tre mesi di trattamento.

A che punto della valutazione si trovava la domanda quando è stata ritirata?

La domanda è stata ritirata dopo che il CHMP aveva valutato la documentazione fornita dalla ditta e aveva formulato alcuni elenchi di domande. Dopo la valutazione da parte del CHMP delle risposte della ditta all'ultima serie di domande, alcuni problemi erano rimasti irrisolti.

Qual era la raccomandazione del CHMP a quel punto?

In base all'esame dei dati e delle risposte fornite dalla ditta agli elenchi di domande poste dal CHMP, il CHMP era provvisoriamente del parere che Arikayce non potesse essere autorizzato per il trattamento dell'infezione polmonare causata da MAC. La principale perplessità del comitato era il fatto che lo studio presentato nella domanda non fornisse prove sufficienti che Arikayce potesse eliminare i batteri dallo sputo dei pazienti in maniera permanente.

Pertanto, al momento del ritiro della domanda, il CHMP riteneva che i benefici di Arikayce non fossero superiori ai suoi rischi.

Quali sono stati i motivi invocati dalla ditta per il ritiro della domanda?

Nella lettera con cui si notifica all'Agenzia il ritiro della domanda, la ditta afferma che la decisione si basava sull'idea che il CHMP non avrebbe raccomandato l'approvazione del medicinale sulla base dei dati attuali. La lettera di ritiro è consultabile [qui](#)

Quali sono le conseguenze del ritiro per i pazienti inseriti in studi clinici?

La ditta ha informato il CHMP che non vi sono conseguenze per i pazienti attualmente inseriti in studi clinici con Arikayce. Le persone inserite in uno studio clinico che abbiano bisogno di maggiori informazioni sul loro trattamento possono consultare il medico che le sta trattando.