



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2016 m. birželio 24 d.
EMA/430267/2016
EMA/H/C/003936

Klausimai ir atsakymai

Paraiškos gauti Arikayce (amikacino) rinkodaros leidimą atsiėmimas

2016 m. birželio 8 d. bendrovė „Insmed Limited“ oficialiai pranešė Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komitetui (CHMP) apie savo pageidavimą atsiimti paraišką gauti vaisto Arikayce, skirto *Mycobacterium avium* komplekso (MAK) sukeltos plaučių ligos gydymui, rinkodaros leidimą.

Kas yra Arikayce?

Arikayce – tai antibiotikas, kurio sudėtyje yra veikliosios medžiagos amikacino. Jį buvo numatyta tiekti inhaliacinės suspensijos forma.

Kokiais atvejais buvo numatyta vartoti Arikayce?

Arikayce buvo numatyta gydyti suaugusiuosius, kuriems diagnozuota *Mycobacterium avium* komplekso (MAK) – grupės bakterijų, kurių paprastai yra aplinkoje, pvz., dirvožemyje ir vandenyje, – sukelta plaučių infekcija. Šį vaistą buvo numatyta skirti pacientams, kurių infekcijos nepavyko išgydyti taikant ankstesnį gydymą.

Pagal MAK ir panašių bakterijų sukeltų infekcijų gydymo indikaciją Arikayce 2014 m. balandžio 8 d. buvo priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai. Daugiau informacijos apie vaistų priskyrimą retųjų vaistų kategorijai rasite [čia](#).

Kokio tikimasi Arikayce veikimo?

Veiklioji Arikayce medžiaga amikacinas yra plačiai pripažįstamas vadinamųjų aminoglikozidų grupės antibiotikas, kuris veikia sutrikdydamas gyvybiškai svarbių baltymų gamybą bakterijoje. Šiame vaiste esantis amikacinas patalpintas į mikroskopines riebalų kapsules, vadinamas liposomomis. Šios liposomos padeda sulėtinti veikliosios medžiagos skilimą, todėl ji išlieka žmogaus organizme ilgesnį



laiką. Kadangi tai yra įkvepiamas vaistas, jis taip pat pasiekia plaučius greičiau nei švirkščiamas amikacinas.

Kokius dokumentus bendrovė pateikė kartu su paraiška?

Bendrovė pateikė ankstyvos stadijos (2 fazės) tyrimo su 89 suaugusiais pacientais, kuriems buvo diagnozuotos MAK arba panašių bakterijų sukeltos plaučių infekcijos, rezultatus. Šio tyrimo metu Arikayce buvo lyginamas su placebo (netikru vaistu) ir daugiausia buvo vertinama, kiek veiksmingai vaistas išnaikina bakterijas pacientų skrepliuose (gleivėse) per maždaug 3 gydymo mėnesius.

Kuriuo paraiškos nagrinėjimo etapu paraiška atsiimta?

Paraiška atsiimta, kai CHMP jau buvo įvertinęs bendrovės pateiktus dokumentus ir parengęs klausimų sąrašus. CHMP įvertinus bendrovės atsakymus į paskutinį kartą pateiktus klausimus, vis dar buvo likę neišspręstų klausimų.

Kokia tuo metu buvo CHMP rekomendacija?

Remdamasis peržiūretais duomenimis ir atsakymais, kuriuos bendrovė pateikė į CHMP parengtus klausimus, CHMP buvo priėmęs negalutinę nuomonę, kad Arikayce negali būti registruotas MAK sukeltos plaučių infekcijos gydymui. Pagrindinė komiteto abejonė buvo ta, kad kartu su paraiška pateikto tyrimo duomenų nepakako įrodyti, kad Arikayce gali visam laikui išnaikinti bakterijas paciento skrepliuose.

Todėl paraiškos atsiėmimo metu CHMP laikėsi nuomonės, kad Arikayce teikiama nauda nėra didesnė už jo keliamą riziką.

Kokias paraiškos atsiėmimo priežastis nurodė bendrovė?

Laiške, kuriuo agentūrai pranešta apie paraiškos atsiėmimą, bendrovė nurodė, kad toks sprendimas buvo priimtas supratęs, kad CHMP, remdamasis dabartiniais duomenimis, nerekomenduos įregistruoti šio vaisto. Laišką dėl paraiškos atsiėmimo galima rasti [čia](#).

Kokių pasekmių paraiškos atsiėmimas turės pacientams, dalyvaujantiems klinikiniuose tyrimuose?

Bendrovė informavo CHMP, kad paraiškos atsiėmimas neturės jokių pasekmių šiuo metu Arikayce klinikiniuose tyrimuose dalyvaujantiems pacientams. Jei dalyvaujate klinikiniame tyrime ir pageidaujate gauti daugiau informacijos apie Jums taikomą gydymą, kreipkitės į Jus gydantį gydytoją.