



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Vragen en antwoorden

Intrekking van de aanvraag van een vergunning voor het in de handel brengen van Arikayce (amikacine)

Op 8 juni 2016 heeft Insmmed Limited het Comité voor geneesmiddelen voor menselijk gebruik (CHMP) officieel op de hoogte gebracht van haar beslissing om haar aanvraag van een vergunning voor het in de handel brengen van Arikayce in te trekken. Arikayce was bedoeld voor de behandeling van longziekte veroorzaakt door *Mycobacterium avium*-complex (MAC).

Wat is Arikayce?

Arikayce is een antibioticum dat de werkzame stof amikacine bevat. Het had verkrijgbaar moeten komen in de vorm van een suspensie voor inhalatie.

Voor welke behandeling was Arikayce bedoeld?

Arikayce was bedoeld voor de behandeling van volwassenen met een longinfectie veroorzaakt door *Mycobacterium avium*-complex (MAC), een groep bacteriën die vaak in het milieu wordt aangetroffen, zoals in de bodem en in het water. Het middel zou worden gebruikt bij patiënten bij wie de infectie ondanks eerdere behandeling aanhield.

Arikayce werd op 8 april 2014 voor de behandeling van infecties veroorzaakt door MAC en soortgelijke bacteriën aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame ziekten). Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel is [hier](#) te vinden.

Hoe werd verwacht dat Arikayce zou werken?

De werkzame stof in Arikayce, amikacine, is een gevestigd antibioticum van de groep 'aminoglycosiden' dat de bacteriële aanmaak van vitale eiwitten verstoort. In dit geneesmiddel wordt amikacine omgeven door microscopische vetcapsules genaamd liposomen. Deze liposomen verlagen de snelheid waarmee de werkzame stof wordt afgebroken, zodat deze langer in het lichaam achterblijft.



Omdat het geneesmiddel wordt ingeademd, bereikt het de longen via een kortere weg dan amikacine toegediend via injectie.

Welke documentatie heeft de firma ingediend als ondersteuning van de aanvraag?

De firma diende resultaten in van een vroeg (fase 2-)onderzoek bij 89 volwassen patiënten met longinfecties veroorzaakt door MAC of soortgelijke bacteriën. In dit onderzoek werd Arikayce vergeleken met placebo (een schijnbehandeling) en werd vooral bekeken hoe effectief het geneesmiddel bacteriën uit het sputum (slijm) van patiënten verwijdert na ongeveer drie maanden behandeling.

In welke beoordelingsfase werd de aanvraag ingetrokken?

De firma trok de aanvraag in nadat het CHMP de door de firma overgelegde documentatie had beoordeeld en lijsten met vragen had opgesteld. Nadat het CHMP de antwoorden van de firma op de laatste ronde van vragen had beoordeeld, waren er toch nog onopgeloste punten.

Wat was de aanbeveling van het CHMP op dat moment?

Op basis van de bestudering van de informatie en het antwoord van de firma op de vragenlijst van het CHMP, was het CHMP de voorlopige mening toegedaan dat Arikayce niet kon worden goedgekeurd voor de behandeling van longinfectie veroorzaakt door MAC. De belangrijkste bedenking van het CHMP was dat het onderzoek dat bij de aanvraag was ingediend onvoldoende bewijs leverde dat Arikayce de bacteriën permanent uit het sputum van patiënten verwijdert.

Daarom was het CHMP op het ogenblik van de intrekking van mening dat de voordelen van Arikayce niet opwogen tegen de risico's ervan.

Welke redenen gaf de firma voor het intrekken van de aanvraag?

In de brief waarin de firma het Geneesmiddelenbureau op de hoogte brengt van de intrekking van de aanvraag, stelde de firma er bij haar beslissing van te zijn uitgegaan dat het CHMP op basis van de huidige gegevens niet zou aanbevelen goedkeuring te verlenen aan het geneesmiddel. De intrekkingbrief is [hier](#) te vinden.

Welke gevolgen heeft de intrekking voor patiënten die deelnemen aan klinische proeven?

De firma heeft het CHMP laten weten dat er geen gevolgen zijn voor patiënten die momenteel deelnemen aan klinische proeven met Arikayce. Indien u deelneemt aan een klinische proef en meer informatie wenst over uw behandeling, neemt u dan contact op met uw behandelend arts.