



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

24 czerwca 2016 r.
EMA/430267/2016
EMA/H/C/003936

Pytania i odpowiedzi

Wycofanie wniosku o dopuszczenie do obrotu dotyczącego produktu Arikayce (amikacyna)

W dniu 8 czerwca 2016 r. firma Insmmed Limited oficjalnie powiadomiła Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) o zamiarze wycofania wniosku o dopuszczenie do obrotu produktu leczniczego Arikayce, który miał być stosowany w leczeniu choroby płuc wywołanej przez mykobakterie *Mycobacterium avium complex* (MAC).

Co to jest lek Arikayce?

Lek Arikayce jest antybiotykiem zawierającym substancję czynną amikacynę. Miał on być dostępny w postaci zawiesiny do inhalacji.

W jakim celu miał być stosowany lek Arikayce?

Lek Arikayce miał być stosowany w leczeniu dorosłych pacjentów z zakażeniem płuc wywołanym przez mykobakterie *Mycobacterium avium complex* (MAC), grupę bakterii powszechnie występujących w środowisku, np. w glebie i wodzie. Miał być stosowany u pacjentów, u których zakażenie utrzymuje się pomimo wcześniejszego leczenia.

W dniu 8 kwietnia 2014 r. lek Arikayce uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach) w leczeniu zakażeń wywołanych przez MAC i podobne bakterie. Więcej informacji na temat uznania za lek sierocy można znaleźć [tutaj](#).

Jakie jest oczekiwane działanie leku Arikayce?

Substancja czynna leku Arikayce, amikacyna, jest antybiotykiem o ugruntowanym stosowaniu z grupy aminoglikozydów, który działa poprzez zaburzenie produkcji przez bakterie białek niezbędnych im do życia. W leku tym amikacyna jest zawarta w mikroskopijnych kapsułkach tłuszczowych zwanych liposomami. Liposomy pomagają w zmniejszeniu szybkości rozkładania substancji czynnej, co pozwala



na jej dłuższe pozostawanie w organizmie. Ponieważ lek jest wdychany, dociera również do płuc bardziej bezpośrednio niż amikacyna podawana we wstrzyknięciach.

Jaka dokumentacja została przedstawiona przez firmę na poparcie wniosku?

Firma przedłożyła wyniki wczesnego badania (fazy 2) obejmującego 89 dorosłych pacjentów z zakażeniami płuc wywołanymi przez MAC lub podobne bakterie. W tym badaniu lek Arikayce porównywano z placebo (leczenie pozorowane) i oceniano przede wszystkim, na ile skutecznie lek powodował usunięcie bakterii z płuc pacjentów po około 3 miesiącach leczenia.

Na jakim etapie znajdowała się ocena w momencie wycofania wniosku?

Wniosek został wycofany po przeprowadzeniu przez CHMP oceny dokumentacji przedłożonej przez firmę i sformułowaniu list pytań. Po tym, jak CHMP ocenił odpowiedzi firmy na ostatnią serię pytań, kilka kwestii pozostało nierozwiązanych.

Jakie zalecenia wydał wówczas CHMP?

Na podstawie przeglądu danych i odpowiedzi firmy na listy pytań CHMP wstępna opinia CHMP wskazywała, że produkt Arikayce nie może zostać zatwierdzony do leczenia zakażeń płuc wywołanych przez MAC. Komitet zaniepokoił przede wszystkim fakt, że badanie przedstawione we wniosku nie dostarczyło wystarczających dowodów na to, że lek Arikayce może spowodować trwałe usunięcie bakterii z płuc pacjentów.

Dlatego też w momencie wycofania wniosku według CHMP korzyści ze stosowania produktu Arikayce nie przewyższały ryzyka.

Jakie przyczyny wycofania wniosku podała firma?

W piśmie powiadającym Agencję o wycofaniu wniosku firma stwierdziła, że jej decyzja wynika z uznania, że CHMP nie zaleci zatwierdzenie leku na podstawie aktualnych danych. Pismo od firmy powiadające Agencję o wycofaniu wniosku jest dostępne [tutaj](#).

Jakie są skutki wycofania dla pacjentów uczestniczących w badaniach klinicznych?

Firma poinformowała CHMP, że wycofanie wniosku nie będzie miało wpływu na trwające badania kliniczne nad lekiem Arikayce. W przypadku uczestnictwa w badaniach klinicznych i potrzeby uzyskania dokładniejszych informacji o leczeniu należy skontaktować się z lekarzem prowadzącym.