



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Întrebări și răspunsuri

Retragerea cererii de autorizare de punere pe piață pentru Arikayce (amikacină)

La 8 iunie 2016, Insmad Limited a înștiințat oficial Comitetul pentru medicamente de uz uman (CHMP) că dorește să își retragă cererea de autorizare de punere pe piață pentru Arikayce, conceput pentru tratamentul bolii pulmonare determinate de complexul *Mycobacterium avium* (CMA).

Ce este Arikayce?

Arikayce este un antibiotic care conține substanța activă amikacină. Medicamentul urma să fie disponibil sub formă de suspensie de inhalat.

Pentru ce ar fi trebuit să se utilizeze Arikayce?

Arikayce ar fi trebuit să se utilizeze pentru tratamentul adulților cu infecție pulmonară cauzată de complexul *Mycobacterium avium* (CMA), o categorie de bacterii întâlnite frecvent în mediul înconjurător, de exemplu în sol și în apă. Medicamentul urma să fie utilizat la pacienții la care infecție persistă în pofida tratamentului anterior.

Arikayce a fost desemnat „medicament orfan” (medicament folosit în boli rare) la data de 8 aprilie 2014, pentru tratamentul infecțiilor cauzate de CMA și de alte bacterii similare. Informații suplimentare privind desemnarea ca medicament orfan sunt disponibile [aici](#).

Cum ar trebui să acționeze Arikayce?

Substanța activă din Arikayce, amikacina, este un antibiotic bine stabilit din clasa „aminoglicozidelor”, care acționează întrerupând producerea proteinelor vitale la nivel bacterian. În acest medicament, amikacina este conținută în capsule lipidice microscopice, numite lipozomi. Acești lipozomi ajută la reducerea vitezei de descompunere a substanței active, permițându-i să rămână în organism mai mult



timp. Deoarece medicamentul se inhalează, acesta ajunge la nivelul plămânilor în mod mai direct decât amikacina administrată prin injectare.

Ce documentație a prezentat compania în sprijinul cererii sale?

Compania a prezentat rezultatele unui studiu clinic anterior (de fază II), care a cuprins 89 de pacienți adulți cu infecții pulmonare cauzate de CMA sau de bacterii asemănătoare. Acest studiu a comparat Arikayce cu placebo (un preparat inactiv) și a analizat în principal gradul de eficacitate a medicamentului în eliminarea bacteriilor din sputa (expectorația) pacienților după aproximativ 3 luni de tratament.

În ce stadiu se afla evaluarea în momentul retragerii cererii?

Cererea a fost retrasă după ce CHMP încheiase evaluarea documentației prezentate de companie și formulase listele de întrebări. După evaluarea de către CHMP a răspunsurilor companiei la ultima rundă de întrebări, existau încă unele probleme nerezolvate.

Care a fost recomandarea CHMP în momentul respectiv?

În urma analizării datelor și a răspunsului companiei la listele de întrebări ale CHMP, CHMP a emis un aviz provizoriu potrivit căruia Arikayce nu putea fi aprobat pentru tratamentul infecției pulmonare cu CMA. Principalul motiv de îngrijorare al comitetului a fost faptul că studiul prezentat în cerere nu a furnizat dovezi suficiente potrivit cărora Arikayce poate elimina definitiv bacteriile din sputa pacienților.

Prin urmare, la momentul retragerii cererii, CHMP considera că beneficiile Arikayce nu depășeau riscurile asociate.

Care au fost motivele invocate de companie pentru retragerea cererii?

În scrisoarea prin care înștiințează agenția cu privire la retragerea cererii, compania a declarat că hotărârea sa se bazează pe înțelegerea faptului că CHMP nu intenționează să recomande aprobarea medicamentului pe baza datelor actuale. Scrisoarea de retragere a cererii este disponibilă [aici](#).

Care sunt consecințele retragerii cererii pentru pacienții implicați în studii clinice?

Compania a informat CHMP că nu există consecințe pentru pacienții incluși în prezent în studii clinice cu Arikayce. Dacă participați la un studiu clinic și aveți nevoie de informații suplimentare despre tratamentul dumneavoastră, adresați-vă medicului care vă administrează acest tratament.