



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

24. junij 2016
EMA/430267/2016
EMA/H/C/003936

Vprašanja in odgovori

Umik vloge za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Arikayce (amikacin)

Družba Insmed Limited je dne 8. junija 2016 uradno obvestila Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP), da želi umakniti vlogo za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Arikayce, namenjenim zdravljenju pljučne bolezni, ki jo povzroča kompleks mikobakterij *Mycobacterium avium*.

Kaj je zdravilo Arikayce?

Zdravilo Arikayce je antibiotik, ki vsebuje zdravilno učinkovino amikacin. Na voljo naj bi bilo v obliki suspenzije za inhaliranje.

Za kaj naj bi se zdravilo Arikayce uporabljalo?

Zdravilo Arikayce naj bi se uporabljalo za zdravljenje odraslih s pljučno okužbo, ki jo povzroča kompleks mikobakterij *Mycobacterium avium*, skupina bakterij, ki so pogosto prisotne v okolju, na primer v prsti in vodi. Uporabljalo naj bi se pri bolnikih, pri katerih je okužba tudi po predhodnem zdravljenju še vedno prisotna.

Zdravilo Arikayce je bilo dne 8. aprila 2014 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni) za zdravljenje okužb, ki jih povzročajo kompleks mikobakterij *Mycobacterium avium* in podobne bakterije. Več informacij o zdravilih sirotah je na voljo [tukaj](#).

Kako naj bi zdravilo Arikayce delovalo?

Zdravilna učinkovina v zdravilu Arikayce, amikacin, je dobro uveljavljen antibiotik iz skupine „aminoglikozidov“, ki deluje tako, da pri bakterijah prekine tvorbo življenjsko pomembnih beljakovin. V tem zdravilu amikacin obdaja mikroskopska maščobna kapsula, imenovana liposom. Ti liposomi pripomorejo k upočasnitvi razgrajevanja zdravilne učinkovine in podaljšajo čas njenega zadrževanja v telesu. Ker se zdravilo vdihava, tudi pljuča doseže prej kot amikacin, ki se daje z injiciranjem.



Katero dokumentacijo je družba predložila v podporo svoji vlogi?

Družba je predložila rezultate zgodnje študije (2. faze) pri 89 odraslih bolnikih s pljučnimi okužbami, ki jih povzročajo kompleks mikobakterij *Mycobacterium avium* ali podobne bakterije. V tej študiji so primerjali zdravilo Arikayce s placebo (zdravilom brez zdravilne učinkovine) in ugotavljali, kako učinkovito je zdravilo odstranilo bakterije iz bolnikovega izmečka (sluzi) po treh mesecih zdravljenja.

Kako daleč je bil postopek ocenjevanja vloge ob njenem umiku?

Vlogo so umaknili po tem, ko je CHMP ocenil dokumentacijo, ki jo je predložila družba, in oblikoval seznam vprašanj. Potem ko je CHMP ocenil odgovore družbe na zadnji sklop vprašanj, so nekatera vprašanja še vedno ostala nerešena.

Kakšno je bilo takrat priporočilo CHMP?

Na podlagi pregleda podatkov in odgovorov družbe na seznam vprašanj, ki jih je zastavil CHMP, je Odbor začasno menil, da zdravila Arikayce ni mogoče odobriti za zdravljenje pljučne okužbe s kompleksom mikobakterij *Mycobacterium avium*. Glavni pomislek odbora je bil, da študija, ki so jo predložili z vlogo, ne zagotavlja dovolj dokazov, da lahko zdravilo Arikayce trajno odstrani bakterije iz bolnikovega izmečka.

Zato je CHMP v času umika menil, da koristi zdravila Arikayce ne odtehtajo z njim povezanih tveganj.

Kakšni so bili razlogi družbe za umik vloge?

V dopisu, s katerim družba Agencijo obvešča o umiku vloge, je navedeno, da odločitev družbe temelji na njenem razumevanju, da CHMP na podlagi trenutnih podatkov ne bo priporočil odobritve zdravila. Dopis o umiku vloge je na voljo [tukaj](#).

Kakšne so posledice umika za bolnike, ki sodelujejo v kliničnih preskušanjih?

Družba je odbor CHMP obvestila, da umik nima nobenih posledic za bolnike, ki trenutno sodelujejo v kliničnih preskušanjih zdravila Arikayce. Če ste vključeni v klinično preskušanje in potrebujete več informacij o zdravljenju, se obrnite na zdravnika, ki vam je predpisal zdravljenje.