

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

Questions et réponses

Retrait de la demande d'autorisation de mise sur le marché pour Arikayce (amikacine)

Le 8 juin 2016, Insmed Limited a officiellement notifié au comité des médicaments à usage humain (CHMP) son souhait de retirer sa demande d'autorisation de mise sur le marché pour Arikayce, dans le traitement des patients souffrant d'une maladie pulmonaire à complexe *Mycobacterium avium* (MAC).

Qu'est-ce que Arikayce?

Arikayce est un antibiotique contenant le principe actif amikacine. Il devait être disponible sous la forme d'une suspension pour inhalation.

Dans quel cas Arikayce devait-il être utilisé?

Il était prévu qu'Arikayce soit utilisé pour traiter les adultes atteints d'une infection provoquée par le complexe *Mycobacterium avium* (MAC), un groupe de bactéries communément présentes dans l'environnement, comme le sol et l'eau. Il devait être utilisé chez les patients dont l'infection persistait malgré un traitement précédent.

Arikayce a été désigné comme étant un «médicament orphelin» (médicament utilisé pour des maladies rares), le 8 avril 2014 pour traiter les infections provoquées par MAC et des bactéries similaires. Des informations complémentaires sur la désignation de médicament orphelin sont disponibles [ici](#).

Comment Arikayce doit-il agir?

Le principe actif d'Arikayce, l'amikacine, est un antibiotique d'utilisation bien établie appartenant à de la classe des aminoglycosides, qui fonctionne en perturbant la production bactérienne de protéines vitales. Dans ce médicament, l'amikacine est contenue au sein de microcapsules de lipides connues sous le nom de liposomes. Ces derniers contribuent à réduire la vitesse à laquelle le principe actif est



dégradé, ce qui lui permet de rester dans le corps plus longtemps. Le médicament étant inhalé, il atteint aussi les poumons de façon plus directe que l'amikacine administrée par injection.

Quelle a été la documentation présentée par la société pour justifier sa demande?

La société a soumis les résultats d'une étude précoce (de phase 2) menée auprès de 89 patients adultes atteints d'infections pulmonaires provoquées par MAC ou des bactéries similaires. Cette étude a comparé Arikayce à un placebo (traitement fictif) et a principalement examiné l'efficacité du médicament pour éliminer les bactéries des crachats (expectorations) du patient après trois mois de traitement.

À quel stade en était l'évaluation lors du retrait de la demande?

La demande a été retirée après l'évaluation par le CHMP de la documentation présentée par la société et l'établissement par celui-ci d'une liste de questions. Après l'évaluation par le CHMP des réponses apportées par la société à la dernière série de questions, certains sujets demeuraient en suspens.

Quelle était la recommandation du CHMP à ce stade?

Sur la base de l'examen des données et de la réponse de la société aux listes de questions du CHMP, le CHMP estimait à ce stade qu'Arikayce ne pouvait pas être approuvé pour le traitement des infections pulmonaires à MAC. La principale préoccupation du comité était que l'étude soumise dans la demande n'apportait pas suffisamment de preuves de l'élimination permanente par Arikayce des bactéries dans les crachats des patients.

Par conséquent, au moment du retrait de la demande, l'avis du CHMP était que les bénéfices d'Arikayce n'étaient pas supérieurs à ses risques.

Quels ont été les motifs invoqués par la société pour le retrait de la demande?

Dans sa lettre notifiant à l'Agence le retrait de la demande, la société a mentionné que sa décision est fondée sur le fait qu'elle comprenait que le CHMP n'allait pas recommander l'autorisation du médicament sur la base des données actuelles. La lettre de retrait est disponible [ici](#)

Quelles sont les conséquences du retrait pour les patients participant aux essais cliniques?

La société a informé le CHMP qu'il n'y a aucune conséquence pour les patients actuellement inclus dans des essais cliniques utilisant Arikayce. Si vous participez à un essai clinique et si vous souhaitez obtenir des informations complémentaires sur votre traitement, contactez le médecin qui vous a prescrit le traitement.