

27 mai 2016
EMA/358774/2016
EMA/H/C/003978

Questions et réponses

Retrait de la demande d'autorisation de mise sur le marché pour Opsiria (sirolimus)

Le 20 mai 2016, Santen Oy 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 Opsiria, destiné au traitement de l'uvéïte non infectieuse.

Qu'est-ce que Opsiria?

Opsiria est un médicament contenant le principe actif sirolimus. Il devait être disponible sous la forme d'une solution injectable dans l'œil.

Dans quel cas Opsiria devait-il être utilisé?

Opsiria devait être utilisé pour le traitement de l'uvéïte non infectieuse (inflammation de l'uvée, la partie intermédiaire de l'œil) chez les adultes. L'inflammation peut provoquer une gêne, une douleur, une vision trouble, et peut entraîner une cécité partielle ou totale.

Opsiria a été désigné comme étant un «médicament orphelin» (médicament utilisé pour des maladies rares), le 30 août 2011 pour le traitement de l'uvéïte non infectieuse chronique. Pour obtenir des informations complémentaires, voir: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Comment Opsiria doit-il agir?

Le principe actif contenu dans Opsiria, le sirolimus, doit agir en bloquant une enzyme appelée «mTOR» (mammalian target of rapamycin — cible de la rapamycine chez les mammifères). Puisque mTOR est impliquée dans l'activation et la prolifération des lymphocytes T (globules blancs qui jouent un rôle dans l'inflammation), le sirolimus doit réduire l'inflammation observée dans l'uvéïte non infectieuse chronique.

Le sirolimus est utilisé depuis plusieurs années pour éviter le rejet du greffon après une transplantation.

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

Opsiria a fait l'objet d'une étude principale chez 347 patients atteints d'uvéïte non infectieuse. Dans cette étude, Opsiria n'a pas été comparé à d'autres traitements. Le principal critère d'évaluation de l'efficacité était le nombre de patients chez lesquels l'inflammation a disparu après 5 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 de listes 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, au moment du retrait, le CHMP avait des réserves et estimait à ce stade que Opsiria n'aurait pas pu être approuvé pour le traitement de l'uvéïte non infectieuse. Les données de l'étude clinique n'étaient pas suffisantes pour démontrer le bénéfice d'Opsiria, en particulier chez les patients européens. De plus, le comité s'interrogeait sur la méthode de stérilisation du médicament proposée.

Par conséquent, au moment du retrait de la demande, l'avis du CHMP était que les bénéfices d'Opsiria 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 reconnu la nécessité de présenter des données supplémentaires sur les bénéfices d'Opsiria, données provenant d'une étude clinique en cours.

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 Opsiria.

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.