



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2019. október 18.  
EMA/560142/2019  
EMA/H/C/005141

## Az Ekesivy-re (diklofenamid) vonatkozó forgalombahozatali engedély iránti kérelem visszavonása

A Sun Pharmaceutical Industries Europe B.V. visszavonta a periodikus paralízisnek nevezett izom-rendellenesség kezelésére szolgáló Ekesivy-re vonatkozó forgalombahozatali engedély iránti kérelmét.

A vállalat 2019. október 2-án vonta vissza a kérelmet.

### Milyen típusú gyógyszer az Ekesivy és milyen alkalmazásra szánták?

Az Ekesivy hatóanyaga a diklofenamid, és tablettá formájában lett volna kapható a periodikus paralízis kezelésére, ami az örökölt izom-rendellenességek egy olyan csoportja, amely rohamszerűen jelentkező gyengeséget vagy mozgásképtelenséget okoz, ami néhány órától néhány napig tarthat.

Az Ekesivy-t „hibrid gyógyszerként” fejlesztették ki. Ez azt jelenti, hogy a készítményt egy, az Európai Unióban már engedélyezett „referencia-gyógyszerhez” hasonlónak szánták, amely ugyanazt a hatóanyagot tartalmazza. A referencia-gyógyszer a Fenamide, Olaszországban a glaukóma kezelésére engedélyezett gyógyszer.

Az Ekesivy-t 2016. június 27-én a periodikus paralízis kezelése tekintetében „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3161677](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3161677).

### Hogyan fejt ki hatását az Ekesivy?

A periodikus paralízist az ioncsatornák, az izomsejtek apró pórusainak rendellenességei okozzák, amelyek kontrollálják a töltéssel rendelkező részecskék (ionok), például a nátrium és a kálium áthaladását, amelyek kulcsszerepet játszanak az izmok összehúzódásában és elernyedésében. Az Ekesivy hatásmechanizmusa a periodikus paralízis esetén nem teljesen ismert, de úgy vélik, hogy fokozza a bikarbonát, nátrium és kálium vizelettel történő eltávolítását. Ez megnöveli a savasságot a szervezetben, ami a vizsgálatok szerint segíthet az izomsejtek ioncsatornáinak normalizálásában, így lehetővé téve az izom-összehúzódás hatékonyabb szabályozását.

---

**Official address** Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

**Address for visits and deliveries** Refer to [www.ema.europa.eu/how-to-find-us](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



## **Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a kérelem alátámasztására?**

A vállalat egy, 71 hipokalémiás (ahol a vér alacsony káliumszintje váltja ki a rohamot), illetve hiperkalémiás (ahol a vér magas káliumszintje váltja ki a rohamot) periodikus paralízisben szenvedő betegen elvégzett vizsgálat eredményeit nyújtotta be. A betegek Ekesivy-t vagy placebót (hatóanyag nélküli kezelés) kaptak 9 héten keresztül. A fő hatékonysági mutató a heti rohamok száma volt a kezelés utolsó 8 hetében.

## **A visszavonás előtt meddig jutott el a kérelem az elbírálási folyamatban?**

A kérelmet azt követően vonták vissza, hogy az Európai Gyógyszerügynökség már értékelte a vállalat által eredetileg szolgáltatott információt, és kérdéseket készített a vállalat számára. A vállalat a visszavonás időpontjában még nem válaszolt a kérdésekre.

## **Mit javasolt az Ügynökség az adott időpontban?**

A visszavonás időpontjában az adatok áttekintése alapján az Ügynökség részéről néhány aggály merült fel, és az volt az ideiglenes véleménye, hogy az Ekesivy alkalmazása nem engedélyezhető a periodikus paralízis kezelésére.

Az Ügynökség részéről aggályok merültek fel a gyógyszer minőségével, hatékonyságával és biztonságosságával kapcsolatos számos szempontot illetően. Ezen aggályok közül az Ügynökség kiemelte, hogy a vállalat nem bocsátott rendelkezésre információkat arra vonatkozóan, hogyan lehet a referencia-gyógyszer, a Fenamide adatait összekapcsolni az Ekesivy-vel, annak ellenére, hogy a referencia gyógyszert eltérő betegség esetén alkalmazzák. A vállalat nem szolgáltatott adatokat a gyógyszer felszívódásának, módosulásának és szervezetből történő eltávolításának módjáról. Az Ügynökség aggályát fejezte ki, hogy a vizsgálat betegeken való elvégzésének, valamint az eredmények elemzésének módja nem megfelelően robusztusak az Ekesivy megfelelő hatásának és elfogadható biztonságosságának kimutatásához a javasolt alkalmazás esetén.

Ezért a visszavonás időpontjában az Ügynökség azon a véleményen volt, hogy az Ekesivy előnyei nem haladták meg a kockázatokat, mivel a hatásossága nem igazolt.

## **Mivel indokolta a vállalat a kérelem visszavonását?**

Az Ügynökséget a kérelem visszavonásáról értesítő [levelében](#) a vállalat úgy nyilatkozott, hogy úgy döntött, visszavonja kérelmét, mert nem tudtak volna válaszolni az Ügynökség aggályaira a megadott határidőn belül.

## **Milyen következményekkel jár a visszavonás azokra a betegekre nézve, akik részt vesznek klinikai vizsgálatokban?**

A vállalat tájékoztatta az Ügynökséget, hogy a Ekesivy-vel kapcsolatban nincs folyamatban klinikai vizsgálat.