

London, 2007. március 22.
Doc. Ref. EMEA/44524/2008

KÉRDÉSEK ÉS VÁLASZOK A FORGALOMBA HOZATALI ENGEDÉLY IRÁNTI KÉRELEM VISSZAVONÁSÁVAL KAPCSOLATBAN

ARXXANT

Nemzetközi szabadnév (INN): **ruboxistaurin**

2007. március 13-án az Eli Lilly Nederland B.V. hivatalosan értesítette az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottságát (CHMP), hogy vissza kívánja vonni a mérsékelt és súlyos nem burjánzó retinopathiában szenvedő felnőtt betegek diabéteszes retinopathiájának kezelésére szánt ARXXANT-ra vonatkozó forgalomba hozatali engedély iránti kérelmét.

Milyen típusú gyógyszer az ARXXANT?

Az ARXXANT ruboxisztaurin hatóanyagot tartalmazó gyógyszer (32 mg hatóanyag-tartalmú tablettá formájában).

Milyen betegségek kezelésére szánták az ARXXANT-ot?

Az ARXXANT-ot olyan felnőtt betegek kezelésére szánták, akiknél a mérsékelt és súlyos nem burjánzó retinopathia a diabétesz szövödményeként jelentkezik. A retinopathia a retinában, a szem hátulsó részén lévő fényérzékeny területen található vérerek károsodása. Ez a károsodás a vérnek a véredényekből történő kijutását eredményezi, és ez duzzanatot okoz a retinában. A retinopathia végül látásromláshoz, sőt vaksághoz vezethet. A „nem burjánzó” azt jelenti, hogy a betegség még korai fázisában van, amelynek során a beteg valószínűleg nem is veszi észre látása megváltozását.

Milyen hatásmechanizmust vártak az ARXXANT-tól?

Az ARXXANT hatóanyaga, a ruboxisztaurin, a protein kináz C béta (PKC) enzim aktivitását gátolja. Ez egy természetesen előforduló enzim, amely a retinában lévő vérerek működésének szabályozásáért felelős. Diabéteszes betegeknél a vér magas glukóz (cukor) szintje ennek az enzimnek a túlműködését eredményezheti, ami a vérerek károsodásához vezet. A PKC béta gátlásával a ruboxisztaurin várhatóan megelőzi a vérerek károsodását és a látásromlást.

Milyen dokumentációt nyújtott be a cég a CHMP-nek az alkalmazás alátámasztására?

Az ARXXANT hatását kísérletes modellekben tanulmányozták, mielőtt emberekben kezdték volna vizsgálni.

A cég 685, mérsékelt és súlyos és nagyon súlyos nem burjánzó diabéteszes retinopathiában szenvedő beteg bevonásával végzett fő vizsgálat eredményeit nyújtotta be. A vizsgálatban az ARXXANT hatását a placeboéval (hatóanyag nélküli kezelés) hasonlították össze három éven keresztül. A hatásosság fő mértéke azoknak a betegeknek az aránya volt az egyes csoportokban, akiknek a látása a vizsgálat végén romlott. Ezt azoknak a betűknek a számával mérték, amelyeket a betegek még láttak a szabványos látásvizsgáló táblán: a betűk számának hat hónap alatt 15-tel vagy azt meghaladó számmal történő csökkenését látásromlásnak tekintették.

Meddig jutott el a CHMP az értékelésében, amikor a kérelmet visszavonták?

Kérelmét a cég a benyújtást követő 120. napon vonta vissza. A CHMP a cég által megválaszolandó kérdéslistát állított össze, de a cég még nem válaszolt meg azt.

Szokásos esetben a CHMP-nek 210 napja van egy új kérelem kiértékelésére. Az első benyújtott dokumentáció ellenőrzése alapján a 120. napon a CHMP egy kérdéslistát állít össze, amelyet megküld a cégnek. Mihelyt a cég megválaszolta a kérdéseket, a CHMP megvizsgálja a válaszokat, és még

mielőtt véleményt nyilvánítana, a 180. napon további kérdéseket tehet fel. A CMHP állásfoglalását követően rendszerint körülbelül két hónap telik el, amíg az Európai Bizottság megad egy engedélyt.

Mit ajánlott akkor a CHMP?

A kérelem visszavonásának időpontjában, az adatok ellenőrzése alapján, aggályok merültek fel a CHMP részéről, és az volt az ideiglenes állásfoglalása, hogy az ARXXANT nem engedélyezhető a mérsékelt és súlyos nem burjánzó retinopathiában szenvedő felnőtt betegek diabéteszes retinopathiájának kezelésére.

Mik voltak a CHMP legfőbb aggályai?

A CHMP aggálya azt volt, hogy a klinikai vizsgálatok nem igazolták meggyőzően az ARXXANT hatásosságát. A bizottságnak a gyógyszer mellékhatásaival, különösen a szívritmuszavarokkal kapcsolatban is merültek fel aggályai.

Ezért a kérelem visszavonásának időpontjában az volt a CMHP álláspontja, hogy az ARXXANT előnyei nem kielégítően igazoltak, és hogy az előnyök nem egyenlítik ki az azonosított kockázatokat.

Mivel indokolta a cég a kérelem visszavonását?

A cégnek az EMEÁ-t a forgalomba hozatali engedély iránti kérelem visszavonásáról értesítő levele [itt](#) olvasható.

Mik a visszavonás következményei az ARXXANT-tal végzett klinikai vizsgálatokban résztvevő betegek számára?

A cég arról tájékoztatta a CHMP-t, hogy az engedélykérelem visszavonásának nincsenek következményei az ARXXANT-tal végzett klinikai vizsgálatokban jelenleg résztvevő betegek számára.

Ha ön részt vesz egy ilyen klinikai vizsgálatban, és további információra van szüksége a kezelését illetően, akkor vegye fel a kapcsolatot a kezelőorvosával, aki tájékoztatni fogja önt.