

London, 23 March 2006
EMA/H/C/635

KÉRDÉSEK ÉS VÁLASZOK A FORGALOMBA HOZATALI ENGEDÉLY IRÁNTI KÉRELEM VISSZAVONÁSÁVAL KAPCSOLATBAN

RETAANE

Nemzetközi szabadnév (INN): *anecortave*

2006. február 28-án az Alcon Laboratories (U.K.) Ltd. hivatalosan értesítette az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottságát (CHMP), hogy szándékában áll visszavonni – az időskori macula-degeneratio (AMD) klasszikus részjelensége, a subfoveolaris chorioidea-neovascularisatio kezelésére szolgáló – Retaane-ra vonatkozó forgalomba hozatali engedély iránti kérelmét.

Milyen típusú gyógyszer a Retaane?

A Retaane szuszpenziót a szemgolyó külső részébe kell injektálni. Hatóanyaga 30 mg/ml anecortave-acetát.

Milyen betegségek kezelésére szánták a Retaane-t?

A Retaane-nal az időskori macula-degeneratio exsudatív formájában szenvedő betegeket kívánták kezelni. A kórkép a szemfenéken elhelyezkedő centralis retinarészt (az ún. maculát) támadja meg, és látásvesztéshez vezet. A betegség exsudatív formájának okozói a retina és a macula alatt futó kóros erek, amelyekből vér és folyadék áramolhat ki. A Retaane használatától azt várták, hogy megállítja vagy lelassítja ezt a kóros érújdonképződést (neovascularisatiót) a szemben.

Milyen hatásmechanizmust vártak a Retaane-tól?

A Retaane hatóanyagát képező anecortave hasonló molekulaszerkezettel rendelkezik, mint a szervezet egyik természetes hormonja, a cortisol. Azáltal képes leállítani vagy lassítani az új erek képződését, hogy akadályozza az erek felépítéséhez szükséges fehérjék, és az erek terjedéséhez elengedhetetlen növekedési faktorok termelődését. A Retaane-t 6 havonta injektálták volna „depot” injekcióként, mégpedig közvetlenül a szem mögötti szövetrészebe. (A „depot” injekció gyógyszerét úgy készítik el, hogy azt a szervezet nagyon lassan szívja fel.)

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

A Retaane hatását, mielőtt embereken próbálták volna ki, kísérletes modellekben vizsgálták. A két fő klinikai vizsgálatot 51–96 éves betegek körében végezték, és azok maximum 2 évig tartottak. Az egyik 128 beteg bevonásával a különböző Retaane-dózisokat (3 mg, 15 mg és 30 mg) hasonlította össze a placebo készítménnyel. A másik 530 beteg részvételével a 15 mg-os Retaane és a fotodinamias kezelés hatását vetette össze (ez utóbbi az időskori macula-degeneratio exsudatív formájának szokványos terápiája, melynek során lézerkezelést alkalmaznak az újonnan képződött erek elroncsolására). A vizsgálatokban a látásélességet (szemvizsgálati eredményt) mérték, hogy lássák, miként reagáltak a betegek a kezelésre.

Meddig jutottak el az értékelésben, amikor kérelmet visszavontak?

A kérelmet a cég 180 nappal a beadás után vonta vissza. Lényeges megoldatlan problémák maradtak még azután is, hogy a CHMP értékelte a cégnek a kérdésekre adott válaszát.

Szokásos esetben a CHMP legfeljebb 210 napot tölt egy új kérelem elbírálásával. Az első dokumentáció áttekintése alapján a bizottság kérdéssort állít össze (a 120. napon), amelyet elküld a

7 Westferry Circus, Canary Wharf, London, E14 4HB, UK

Tel. (44-20) 74 18 84 00 Fax (44-20) 74 18 86 13

E-mail: mail@emea.eu.int <http://www.emea.eu.int>

cégnek. Amint a cég válaszol ezekre, a CHMP átnézi a válaszokat, és a vélemény kiadása előtt, újabb kérdés(ek)e)t tehet még fel (a 180. napon).

Miután a CHMP véleményt nyilvánított, körülbelül 2 hónapot vesz igénybe, hogy az Európai Bizottság kiadja az engedélyt.

Mit ajánlott akkor a CHMP?

A CHMP, miután áttekintette a beterjesztett adatokat és a cégnek a visszavonáskor a CHMP által feltett kérdéssorra adott válaszait, kétségeit fejezte ki, és olyan ideiglenes véleményt adott, amelyben a Retaane-t nem tartotta elfogadhatónak az időskori macula-degeneratio klasszikus részjelenségének számító subfoveolaris chorioidea-neovascularisatio kezelésére.

Mik voltak a CHMP legfőbb aggályai?

A CHMP úgy találta, hogy a Retaane hatásossága elmarad a várakozásoktól. A placebóval összehasonlítva a Retaane rendelkezett bizonyos hatékonysággal, de sok beteg esett ki a vizsgálatból annak vége előtt, ami befolyásolta az eredmények megbízhatóságát. A fotodinámiás kezeléssel összehasonlítva a Retaane nem volt olyan hatásos.

Tehát a visszavonáskor a CHMP meglátása szerint a szer előnyei tudományosan nem igazolódtak, illetve azok nem haladták meg az ismert kockázatokat.

Mivel indokolta a cég a kérelem visszavonását?

A cégnek a Retaane visszavonásáról szóló, az EMEA-t értesítő levele [itt](#) olvasható.

Mik a visszavonás következményei az Retaane-vel végzett klinikai vizsgálaton/engedélyezés előtti kezelési programban résztvevő betegek számára?

A cég tájékoztatta a CHMP-t, hogy Európában jelenleg is folynak klinikai vizsgálatok. A cég úgy tervezi, hogy folytatja az exsudatív AMD-ben szenvedő betegek részvételével végzett két, valamint az atrophias AMD-ben szenvedő, és exsudatív AMD-re veszélyeztetett betegek bevonásával végzett egyetlen klinikai vizsgálatát. A cég tovább kívánja vinni az eseti elbírálás alapján folytatott palliatív kezelési programját is. A engedélyezés előtti kezelési programban az orvos a teljes engedélyezést megelőzően is kérelemezhet a gyógyszerből egy-egy olyan betegének, aki a meghatározott kórképben szenved.

Amennyiben Ön klinikai vizsgálatban vagy engedélyezés előtti kezelési programban vesz részt, és a terápiával kapcsolatban további információra van szüksége, jelentkezzen orvosánál, aki tájékoztatni fogja Önt.