

2016. május 27.
EMA/358774/2016
EMA/H/C/003978

Kérdések és válaszok

Az Opsiria-ra (szirolimusz) vonatkozó forgalomba hozatali engedély iránti kérelem visszavonása

2016. május 20-án a Santen Oy hivatalosan értesítette az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottságát (CHMP), hogy vissza kívánja vonni a nem fertőző uveitisz kezelésére szánt Opsiria-ra vonatkozó forgalomba hozatali engedély iránti kérelmét.

Milyen típusú gyógyszer az Opsiria?

Az Opsiria egy szirolimusz nevű hatóanyagot tartalmazó gyógyszer. A szembe adandó oldat formájában lett volna elérhető.

Milyen alkalmazásra szánták az Opsiria-t?

Az Opsiria-t a nem fertőző uveitisz (a szem középső burkának, az uveának a gyulladása) kezelésére szánták felnőtteknél. A gyulladás kellemetlen érzést, fájdalmat és homályos látást okozhat, valamint részleges vagy teljes vaksághoz vezethet.

Az Opsiria 2011. augusztus 30-án a krónikus, nem fertőző uveitisz tekintetében „ritka betegségek gyógyszere” minősítést kapott. További információ itt található: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Milyen hatásmechanizmust várnak az Opsiria-tól?

Az Opsiria hatóanyaga, a szirolimusz a várakozások szerint az úgynevezett mTOR (*mammalian target of rapamycin*) enzim gátlása révén fejti ki hatását. Mivel az mTOR a T-limfociták (a gyulladásban szerepet játszó fehérvérsejtek) aktiválásában és osztódásában vesz részt, a szirolimusz várhatóan csökkenti a gyulladást a krónikus, nem fertőző uveitisz esetében.

A szirolimuszt több éve alkalmazzák a transzplantációt követő szervkilöklődés megakadályozására.

Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a kérelem alátámasztására?

Az Opsiria-t egy fő vizsgálatban tanulmányozták 347, nem fertőző uveitiszben szenvedő beteg részvételével. Ebben a vizsgálatban az Opsiria-t nem hasonlították össze más kezeléssel. A fő hatékonysági mutató azon betegek száma volt, akiknél az 5 hónapos kezelést követően a gyulladás megszűnt.

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

A kérelmet azután vonták vissza, hogy a CHMP már értékelte a vállalat által benyújtott dokumentációt, és kidolgozta a kérdéslistákat. Azt követően, hogy a CHMP értékelte a vállalatnak az utolsó kérdéssorra adott válaszait, még mindig maradt néhány megoldatlan kérdés.

Mit tartalmazott a CHMP ajánlása az adott időpontban?

A visszavonás időpontjában az adatok és a vállalat által a CHMP listáin szereplő kérdésekre adott válaszok áttekintése alapján a CHMP részéről néhány aggály merült fel, és az volt az ideiglenes véleménye, hogy az Opsiria alkalmazása nem engedélyezhető a nem fertőző uveitisz kezelésére. A klinikai vizsgálatból származó adatok nem voltak elégségesek az Opsiria előnyös hatásának igazolásához, különösen az európai betegek esetében. Ezenfelül a bizottság megkérdőjelezte a gyógyszer javasolt sterilizációs módszerét.

Ezért a visszavonás időpontjában a CHMP meglátása szerint az Opsiria előnyei nem haladták meg a kockázatokat.

Mivel indokolta a vállalat a kérelem visszavonását?

Az Ügynökséget a kérelem visszavonásáról értesítő levelében a vállalat elismerte, hogy további adatok benyújtására van szükség az Opsiria előnyös hatásainak vonatkozásában egy folyamatban lévő klinikai vizsgálatból.

A visszavonásról szóló levél [itt](#) olvasható.

Milyen következményekkel jár a visszavonás azokra a betegekre nézve, akik részt vettek a klinikai vizsgálatokban?

A vállalat tájékoztatta a CHMP-t, hogy nincs következmény az Opsiria-val végzett klinikai vizsgálatokban jelenleg részt vevő betegekre nézve.

Ha Ön ilyen klinikai vizsgálatban vesz részt, és kezelését illetően további információra van szüksége, vegye fel a kapcsolatot kezelőorvosával!