



European Medicines Agency

Londra, 18 ottobre 2006
Doc. Ref. EMEA/435961/2006

**DOMANDE E RISPOSTE SUL RITIRO DELLA DOMANDA DI AUTORIZZAZIONE
ALL'IMMISSIONE IN COMMERCIO
per
RIQUENT**

Denominazione comune internazionale (DCI): **abetimus**

Il 13 ottobre 2006 la ditta La Jolla Limited ha notificato ufficialmente al comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) dell'EMA la sua decisione di ritirare la domanda di autorizzazione all'immissione in commercio per il medicinale Riquent. L'indicazione oggetto della domanda era il trattamento della nefrite lupica.

Che cos'è Riquent?

Riquent è una soluzione per iniezione contenente 50 mg/ml del principio attivo abetimus.

Per che cosa avrebbe dovuto essere usato Riquent?

Riquent avrebbe dovuto essere usato per trattare la nefrite lupica (un'inflammatione dei reni) nei pazienti con lupus eritematoso sistemico (LES, una malattia autoimmune provocata dal sistema di difesa dell'organismo, che aggredisce i tessuti sani) con una storia di malattia renale e per i quali sia stato accertato che la terapia con Riquent avrebbe prodotto benefici. Riquent avrebbe dovuto ritardare e ridurre l'incidenza dei "flares" (ossia delle esacerbazioni della malattia renale).

Dal momento che il numero di pazienti affetti da nefrite lupica è basso, la malattia è considerata rara e Riquent è stato designato "medicinale orfano" (ossia un medicinale usato nelle malattie rare) il 20 novembre 2001.

Come avrebbe agito Riquent?

Il principio attivo di Riquent, abetimus, è un agente immunosoppressivo selettivo (un composto in grado di ridurre le reazioni immunitarie dell'organismo in maniera selettiva). La maggior parte dei pazienti con LES possiedono nel sangue anticorpi diretti contro il DNA (acido desossiribonucleico) a doppio filamento. Si ritiene che questi anticorpi siano collegati allo sviluppo della malattia renale lupica. L'abetimus è un piccolo frammento di DNA a doppio filamento creato per ridurre la concentrazione di questi anticorpi nel sangue. Quando Riquent viene somministrato, la concentrazione di questi anticorpi nel sangue diminuisce e, con essa, si presume che si riducano anche le possibilità di esacerbazioni della malattia renale nel paziente.

Qual è la documentazione presentata dalla ditta al CHMP a sostegno della domanda?

Gli effetti di Riquent sono stati analizzati in modelli sperimentali prima di essere studiati sugli esseri umani. Sono stati condotti due importanti studi, a cui hanno partecipato in totale 529 pazienti affetti da LES e durante i quali Riquent è stato paragonato con un placebo (sostanza priva di effetti sull'organismo). Gli studi analizzavano le modalità con cui molti pazienti sviluppavano esacerbazioni e misuravano il tempo necessario per la comparsa di tali esacerbazioni, registrando i livelli di proteine nelle urine e di creatinina (un enzima marcatore della funzione renale) nel sangue.

A che punto della valutazione si trovava la domanda quando è stata ritirata?

La ditta ha ritirato la domanda quando questa si trovava al giorno 114. Il CHMP stava valutando la documentazione iniziale fornita dalla ditta.

Il CHMP normalmente impiega fino a 210 giorni per valutare una nuova domanda. Sulla base dell'esame della documentazione iniziale, il CHMP prepara un elenco di domande (il giorno 120) da inviare alla ditta. Una volta che quest'ultima ha fornito le risposte alle domande poste, il CHMP le analizza e, prima di esprimere un parere, può sottoporre nuove domande alla ditta (il giorno 180). Dopo il parere del CHMP, occorrono generalmente circa 2 mesi prima che la Commissione europea rilasci l'autorizzazione.

Qual era la raccomandazione del CHMP a quel punto?

Il CHMP stava valutando la documentazione iniziale fornita dalla ditta e non aveva ancora espresso raccomandazioni.

Quali sono i motivi esposti dalla ditta per il ritiro della domanda?

La lettera con cui la ditta comunica all'EMA il ritiro della domanda è disponibile [qui](#).

Quali sono le conseguenze del ritiro per i pazienti inseriti in studi clinici o in programmi di uso compassionevole con Riquent?

La ditta ha informato il CHMP che è intenzionata a continuare gli studi clinici già iniziati sul trattamento della nefrite lupica. Non sono in corso programmi di uso compassionevole. Un programma di uso compassionevole è un programma in cui il medico può richiedere per un suo paziente un medicinale inteso a curare una malattia specifica prima che il medicinale sia ufficialmente autorizzato. Le persone inserite in uno studio clinico o in un programma di uso compassionevole che abbiano bisogno di maggiori informazioni sul loro trattamento sono pregate di rivolgersi al medico che le sta trattando.