

Londra, 20 novembre 2008
Doc. rif. EMEA/611497/2008

Domande e risposte sul ritiro della domanda di autorizzazione all'immissione in commercio per Vekacia

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

Il 14 novembre 2008 la ditta Novagali Pharma S.A. ha notificato ufficialmente al comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) la sua intenzione di ritirare la domanda di autorizzazione all'immissione in commercio di Vekacia per il trattamento della cheratocongiuntivite vernale. Vekacia è stato qualificato medicinale orfano il 6 aprile 2006.

Che cos'è Vekacia?

Vekacia è un medicinale che contiene ciclosporina. Avrebbe dovuto essere disponibile in gocce oculari.

Per che cosa avrebbe dovuto essere usato Vekacia?

Vekacia avrebbe dovuto essere usato per il trattamento della cheratocongiuntivite vernale. Si tratta dell'infiammazione della congiuntiva (la membrana che ricopre la palpebra) e della cornea (lo strato trasparente davanti alla pupilla), causata da allergia. La cheratocongiuntivite vernale è una malattia di lunga durata che colpisce prevalentemente ragazzi giovani che vivono in climi caldi e secchi, ad esempio nei paesi mediterranei. Il termine "vernale" sta ad indicare che abitualmente si manifesta in primavera. La malattia può portare alla perdita della vista.

Come avrebbe agito Vekacia?

Il principio attivo di Vekacia, la ciclosporina, è un immunosoppressore. Ciò significa che riduce l'attività del sistema immunitario (le difese naturali dell'organismo). La ciclosporina è usata dalla metà degli anni '80 per aiutare a prevenire il rigetto in pazienti sottoposti a trapianto (quando il sistema immunitario aggredisce l'organo trapiantato). Nei pazienti affetti da cheratocongiuntivite vernale, la ciclosporina somministrata sotto forma di gocce oculari avrebbe dovuto eliminare le reazioni immunitarie locali che inducono l'infiammazione della congiuntiva e della cornea.

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

Siccome la ciclosporina è stata oggetto di studi per molti anni, il richiedente ha presentato dati su modelli sperimentali tratti dalla letteratura scientifica.

Per giustificare l'uso di Vekacia nella cheratocongiuntivite vernale la ditta ha presentato i risultati di uno studio su 118 bambini (di più di quattro anni) e adolescenti. I pazienti sono stati trattati con Vekacia a una concentrazione di 0,05% (0,5 mg di ciclosporina per millilitro) o di 0,1% (1 mg/ml), oppure con placebo (gocce oculari fittizie), che in questo caso era il "veicolo" (le stesse gocce oculari, ma senza ciclosporina). La misura principale dell'efficacia era il cambiamento dei sintomi della malattia dopo quattro settimane, secondo la valutazione del medico. Tra i sintomi presi in considerazione figuravano i seguenti: bruciore, prurito, dolore, palpebre appiccicose, sensazione di corpo estraneo nell'occhio o fotofobia (ipersensibilità dell'occhio alla luce).

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 175. Dopo che il CHMP aveva valutato le risposte della ditta a un elenco di domande, vi erano ancora alcuni problemi irrisolti.

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 questa ha fornito le risposte alle domande poste, il CHMP le esamina e, prima di emettere un parere, può sottoporre nuove domande alla ditta (giorno 180). Dopo che il CHMP ha espresso il proprio parere, occorrono generalmente circa due mesi affinché la Commissione europea rilasci l'autorizzazione.

Qual era la raccomandazione del CHMP a quel punto?

In base all'esame dei dati e delle risposte fornite dalla ditta all'elenco di domande del CHMP, al momento del ritiro della domanda il CHMP aveva alcuni dubbi ed era provvisoriamente del parere che Vekacia non potesse essere autorizzato per il trattamento della cheratocongiuntivite vernale.

Quali erano i principali dubbi del CHMP?

Il CHMP temeva che l'efficacia di Vekacia non fosse stata dimostrata nel confronto con il veicolo. I dubbi del comitato riguardavano il modo in cui era stato concepito lo studio in termini di scelta dei pazienti trattati, il modo in cui erano stati misurati i sintomi e il modo in cui erano stati analizzati i risultati dello studio. Il comitato ha inoltre osservato che non era stata analizzata l'efficacia a lungo termine del medicinale.

Pertanto, al momento del ritiro della domanda, il CHMP era del parere che i benefici di Vekacia non fossero stati sufficientemente dimostrati e che non fossero superiori ai rischi identificati.

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 Vekacia?

La ditta ha informato il CHMP che attualmente non sono in corso studi clinici o programmi di uso compassionevole con Vekacia.