

23 giugno 2017
EMA/CHMP/380586/2017
EMA/H/C/0004330

Domande e risposte

Ritiro della domanda di autorizzazione all'immissione in commercio per Elmisol (levamisolo)

Il 29 maggio 2017 ACE Pharmaceuticals BV 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 per Elmisol, per il trattamento della sindrome nefrosica.

Che cos'è Elmisol?

Elmisol è un medicinale contenente il principio attivo levamisolo cloridrato. Avrebbe dovuto essere disponibile sotto forma di compresse (5, 10, 25 e 50 mg).

Per che cosa avrebbe dovuto essere usato Elmisol?

Elmisol avrebbe dovuto essere usato nei bambini a partire dai 2 anni di età per il trattamento della sindrome nefrosica. La sindrome nefrosica è una malattia renale caratterizzata dalla presenza di grandi quantitativi di proteine nelle urine e provoca un accumulo di liquidi nell'organismo, con gonfiore (edema), pressione alta e aumento di peso. Elmisol avrebbe dovuto essere usato in pazienti i cui sintomi continuavano a ripresentarsi dopo aver risposto al trattamento iniziale con medicinali corticosteroidi (sindrome nefrosica steroide-sensibile).

Elmisol è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 28 ottobre 2005 per la sindrome nefrosica. Ulteriori informazioni sulla designazione di medicinale orfano sono disponibili [qui](#).

Come agisce Elmisol?

Il levamisolo è usato da molti anni per trattare un ampio numero di affezioni, tra cui infezioni da vermi e tumori. L'azione del levamisolo nella sindrome nefrosica non è stata completamente compresa, ma è noto che incide sul sistema immunitario (le difese naturali dell'organismo). Nei pazienti affetti da

sindrome nefrosica, si ritiene che il sistema immunitario attacchi il rene per errore, causando perdite di proteine dal rene nelle urine.

L'inibizione del sistema immunitario mediante medicinali corticosteroidi può portare al controllo della malattia; tuttavia, tali medicinali possono avere marcati effetti indesiderati e incidere sulla crescita dei pazienti giovani. Si ritiene che il levamisolo modifichi l'azione del sistema immunitario, contribuendo a controllare la malattia e riducendo così la quantità di corticosteroidi di cui il paziente necessita.

Quale documentazione ha presentato la ditta a sostegno della domanda?

La ditta ha presentato i risultati di studi su qualità, sicurezza ed efficacia del medicinale, comprese informazioni provenienti dalla letteratura. Lo studio principale ha confrontato levamisolo con placebo (un trattamento fittizio) in bambini affetti da sindrome nefrosica controllata con corticosteroidi. Lo studio ha esaminato la capacità del medicinale di prevenire il ripresentarsi della malattia.

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

La domanda è stata ritirata dopo che il CHMP aveva valutato la documentazione iniziale fornita dalla ditta e aveva formulato un elenco di domande. Al momento del ritiro la ditta non aveva ancora risposto alle domande.

Qual era la raccomandazione del CHMP a quel punto?

In base all'esame dei dati, al momento del ritiro della domanda, il CHMP aveva alcuni dubbi ed era provvisoriamente del parere che Elmisol non potesse essere autorizzato per il trattamento della sindrome nefrosica. I dubbi del comitato vertevano su alcuni elementi relativi al modo in cui era stato condotto lo studio principale e se questi fossero conformi ai requisiti della buona prassi clinica. Altri dubbi riguardavano la possibilità di errori posologici dovuti al fatto che i diversi dosaggi della compressa avrebbero potuto essere confusi, il modo in cui è stata testata la stabilità del principio attivo nelle compresse e l'inadeguatezza delle informazioni sugli effetti del medicinale, la sua distribuzione nell'organismo e i rischi di interazioni con altri medicinali.

Pertanto, al momento del ritiro della domanda, il CHMP riteneva che i benefici di Elmisol nell'indicazione proposta non fossero superiori ai suoi rischi.

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

Nella lettera con cui notifica all'Agenzia il ritiro della domanda, la ditta ha dichiarato che la ritirava perché esistevano dubbi circa lo studio principale che ne impedirebbero l'utilizzo a sostegno della domanda.

La lettera di ritiro della domanda è consultabile [qui](#).

Quali sono le conseguenze del ritiro per i pazienti inseriti in studi clinici?

La ditta ha informato il CHMP che non vi sono conseguenze per i pazienti attualmente inseriti in studi clinici con Elmisol.

Le persone inserite in uno studio clinico che abbiano bisogno di maggiori informazioni sul proprio trattamento possono consultare il medico che le sta trattando.

