

27 maggio 2016
EMA/358774/2016
EMA/H/C/003978

Domande e risposte

Ritiro della domanda di autorizzazione all'immissione in commercio per Opsiria (sirolimus)

Il 20 maggio 2016 Santen Oy 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 Opsiria per il trattamento dell'uveite non infettiva.

Che cos'è Opsiria?

Opsiria è un medicinale che contiene il principio attivo sirolimus. Doveva essere disponibile come soluzione da iniettare nell'occhio.

Per che cosa avrebbe dovuto essere usato Opsiria?

Opsiria avrebbe dovuto essere usato per il trattamento dell'uveite (infiammazione dell'uvea, lo strato centrale dell'occhio) non infettiva negli adulti. L'infiammazione può causare fastidio, dolore, annebbiamento della vista e portare a cecità parziale o completa.

Opsiria è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 30 agosto 2011 per il trattamento dell'uveite cronica non infettiva. Maggiori informazioni sono reperibili qui: ema.europa.eu/Find_medicines/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Come avrebbe dovuto agire Opsiria?

Il principio attivo contenuto in Opsiria, il sirolimus, dovrebbe agire inibendo un enzima detto "bersaglio della rapamicina specifico per i mammiferi" (mTOR). Essendo l'mTOR coinvolto nell'attivazione e proliferazione dei linfociti T (i globuli bianchi che hanno un ruolo nell'infiammazione), il sirolimus avrebbe dovuto ridurre l'infiammazione nell'uveite non infettiva cronica.

Il sirolimus è stato impiegato per molti anni per prevenire il rigetto d'organo dopo un trapianto.

Quale documentazione ha presentato la ditta a sostegno della domanda?

Opsiria è stato analizzato in uno studio principale condotto su 347 pazienti affetti da uveite non infettiva. In questo studio Opsiria non è stato confrontato con altri trattamenti. Il principale parametro dell'efficacia era il numero di pazienti in cui l'infiammazione si è risolta dopo 5 mesi di trattamento.

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 fornita dalla ditta e aveva formulato una serie di domande. Dopo la valutazione da parte del CHMP delle risposte della ditta all'ultima serie di domande, alcuni problemi erano rimasti irrisolti.

Qual era la raccomandazione del CHMP a quel punto?

In base all'esame dei dati e delle risposte fornite dalla ditta agli elenchi di domande poste dal CHMP, al momento del ritiro della domanda, il CHMP aveva alcuni dubbi ed era provvisoriamente del parere che Opsiria non potesse essere autorizzato per il trattamento dell'uveite non infettiva. I dati dello studio clinico non erano sufficienti a dimostrare il beneficio di Opsiria, specialmente nei pazienti europei. Inoltre, il comitato ha messo in discussione il metodo di sterilizzazione proposto del medicinale.

Pertanto, al momento del ritiro della domanda, il CHMP riteneva che i benefici di Opsiria non fossero superiori ai suoi rischi.

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

In questa lettera di notifica all'Agenzia del ritiro della domanda, la ditta ha riconosciuto la necessità di fornire ulteriori dati sui benefici di Opsiria derivanti da uno studio clinico in corso.

La lettera di ritiro 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 Opsiria.

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