



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

15 dicembre 2017
EMA/821654/2017
EMA/H/C/004153

Ritiro della domanda di autorizzazione all'immissione in commercio per Qizenday (biotina)

Il 13 novembre 2017 Medday Pharmaceuticals 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 Qizenday, per il trattamento della sclerosi multipla progressiva.

Che cos'è Qizenday?

Qizenday è un medicinale che contiene il principio attivo biotina. Avrebbe dovuto essere disponibile sotto forma di capsule da prendere per bocca.

Per che cosa avrebbe dovuto essere usato Qizenday?

Qizenday avrebbe dovuto essere utilizzato per il trattamento di adulti affetti dalla forma progressiva di sclerosi multipla, una malattia in cui la guaina protettiva attorno alle cellule nervose del cervello e del midollo spinale viene danneggiata e i nervi degenerano progressivamente. I sintomi includono debolezza, difficoltà motorie e problemi alla vista. "Progressiva" indica che i sintomi peggiorano costantemente nel tempo.

Come agisce Qizenday?

Il meccanismo di azione di Qizenday nella sclerosi multipla non è ben chiaro; tuttavia, si ritiene che il medicinale agisca sugli enzimi (noti come carbossilasi) per aumentare la produzione di energia nei nervi danneggiati e favorire la riparazione della guaina protettiva attorno alle cellule nervose.

Tre di questi enzimi sono coinvolti nella produzione di energia, mentre si ritiene che un quarto contribuisca alla produzione di guaine attorno alle cellule nervose.

Quale documentazione ha presentato la ditta a sostegno della domanda?

La ditta ha presentato i dati da due studi principali che hanno confrontato Qizenday con placebo (un trattamento fittizio). Il primo studio è stato effettuato su 154 pazienti affetti da sclerosi multipla



progressiva spinale. Il principale indicatore di efficacia è stato il numero di pazienti nei quali la disabilità complessiva diminuiva e la capacità di camminare migliorava.

Il secondo studio è stato effettuato su 93 pazienti affetti da sclerosi multipla che avevano subito perdita della vista a causa dell'infiammazione del nervo ottico. Il principale indicatore di efficacia è stato il miglioramento della vista.

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 elenchi 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 Qizenday non potesse essere autorizzato per il trattamento della sclerosi multipla progressiva.

Il CHMP ha considerato che i dati sull'efficacia del medicinale non fossero sufficientemente comprovati e che sussistessero incertezze relative alla sicurezza del medicinale dato il numero ridotto di pazienti trattati con Qizenday. Inoltre, il comitato riteneva che fossero necessarie maggiori informazioni sulla modalità di assorbimento, modificazione ed eliminazione del medicinale dall'organismo.

Pertanto, al momento del ritiro della domanda, il CHMP riteneva che i benefici di Qizenday 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 detto ritiro si basa sul parere del CHMP che i dati clinici presentati non consentono al comitato di stabilire un rapporto rischi/benefici positivo per Qizenday.

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

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

La ditta ha informato il CHMP che non vi sono conseguenze per i pazienti attualmente inseriti in sperimentazioni cliniche o in programmi di uso compassionevole con Qizenday.

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