

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

## Vragen en antwoorden

---

# Intrekking van de aanvraag van een vergunning voor het in de handel brengen van Opsiria (sirolimus)

Op 20 mei 2016 heeft Santen Oy het Comité voor geneesmiddelen voor menselijk gebruik (CHMP) officieel op de hoogte gebracht van haar beslissing haar aanvraag van een vergunning voor het in de handel brengen van Opsiria in te trekken. Opsiria was bedoeld voor de behandeling van niet-infectieuze uveïtis.

## Wat is Opsiria?

Opsiria is een geneesmiddel dat de werkzame stof sirolimus bevat. Het had in de handel moeten komen als een oplossing voor injectie in het oog.

## Voor welke behandeling was Opsiria bedoeld?

Opsiria was bedoeld voor de behandeling van niet-infectieuze uveïtis (ontsteking van de uvea, de middelste laag van het oog) bij volwassenen. De ontsteking kan ongemak, pijn en wazig zien veroorzaken en leiden tot gedeeltelijke of volledige blindheid.

Opsiria werd op 30 augustus 2011 voor de behandeling van chronische, niet-infectieuze uveïtis aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame ziekten). Meer informatie vindt u hier: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designations](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designations).

## Hoe werd verwacht dat Opsiria zou werken?

Verwacht werd dat de werkzame stof in Opsiria, sirolimus, een enzym zou blokkeren dat 'mammalian target of rapamycin' (mTOR) heet. Aangezien mTOR betrokken is bij de activatie en vermeerdering van T-lymfocyten (witte bloedcellen die een rol spelen bij ontsteking), zou sirolimus naar verwachting in geval van chronische niet-infectieuze uveïtis de ontsteking verminderen.

Sirolimus wordt al verscheidene jaren gebruikt om orgaanafstoting na een transplantatie te voorkomen.

### **Welke documentatie heeft de firma ingediend als ondersteuning van de aanvraag?**

Opsiria werd beoordeeld in één hoofdstudie bij 347 patiënten met niet-infectieuze uveïtis. In deze studie werd Opsiria niet met andere behandelingen vergeleken. De belangrijkste graadmeter voor de werking was het aantal patiënten bij wie de ontsteking na vijf maanden behandeling was verdwenen.

### **In welke beoordelingsfase werd de aanvraag ingetrokken?**

De firma trok de aanvraag in nadat het CHMP de door de firma overgelegde documentatie had bestudeerd en de firma een vragenlijst had voorgelegd. Nadat het CHMP de antwoorden van de firma op de laatste ronde van vragen had beoordeeld, waren er toch nog onopgeloste punten.

### **Wat was de aanbeveling van het CHMP op dat moment?**

Op basis van de bestudering van de informatie en het antwoord van de firma op de vragenlijsten van het CHMP, had het Comité op het ogenblik van de intrekking enkele bedenkingen en was het de voorlopige mening toegedaan dat Opsiria voor de behandeling van niet-infectieuze uveïtis niet kon worden goedgekeurd. De gegevens uit de klinische studie waren niet voldoende om het voordeel van Opsiria aan te tonen, in het bijzonder bij Europese patiënten. Bovendien twijfelde het Comité aan de voorgestelde sterilisatiemethode van het geneesmiddel.

Daarom was het CHMP op het ogenblik van de intrekking van mening dat de voordelen van Opsiria niet opwogen tegen de risico's ervan.

### **Welke redenen gaf de firma voor het intrekken van de aanvraag?**

In de brief waarin de firma het Geneesmiddelenbureau op de hoogte bracht over de intrekking van de aanvraag, erkende de firma de noodzaak om uit een nog lopende klinische studie aanvullende gegevens in te dienen betreffende de voordelen van Opsiria.

De intrekkingsbrief is [hier](#) te vinden.

### **Welke gevolgen heeft de intrekking voor patiënten die deelnemen aan klinische proeven?**

De firma heeft het CHMP laten weten dat er geen gevolgen zijn voor patiënten die momenteel deelnemen aan klinische proeven met Opsiria.

Indien u deelneemt aan een klinische proef en meer informatie wenst over uw behandeling, neemt u dan contact op met uw behandelend arts.