



European Medicines Agency

Londyn, 22 marca 2007 r.
Nr ref. dok. EMEA/44530/20082

**PYTANIA I ODPOWIEDZI DOTYCZĄCE WYCOFANIA WNIOSKU O DOPUSZCZENIE
DO OBROTU
dla preparatu
ARXXANT**

Nieopatentowana nazwa międzynarodowa (INN): **ruboksystauryna**

Dnia 13 marca 2007 r. firma Eli Lilly Nederland B.V. oficjalnie poinformowała Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP), że podjęła decyzję o wycofaniu wniosku o dopuszczenie do obrotu produktu leczniczego ARXXANT do leczenia retinopatii cukrzycowej u pacjentów dorosłych z umiarkowaną lub ciężką nieproliferacyjną retinopatią.

Co to jest ARXXANT?

Preparat ARXXANT jest lekiem, który jako substancję czynną zawiera ruboksystaurynę (w postaci tabletek 32 mg).

W jakim celu miał być stosowany ARXXANT?

Preparat ARXXANT miał być stosowany w leczeniu pacjentów dorosłych z umiarkowaną lub ciężką nieproliferacyjną retinopatią jako powikłaniem cukrzycy. Retinopatia stanowi uszkodzenie naczyń krwionośnych w siatkówce – światłoczułej powierzchni w tylnej części oka. Uszkodzenie to powoduje, że naczynia krwionośne przepuszczają płyn, co prowadzi do obrzęku siatkówki. Retinopatia może ostatecznie doprowadzić do utraty wzroku, a nawet ślepoty. Określenie „nieproliferacyjna” oznacza, że choroba jest we wczesnym stadium zaawansowania, w którym pacjent może nie zauważać żadnych zmian widzenia.

Jak powinien działać ARXXANT?

Substancja czynna zawarta w preparacie ARXXANT, ruboksystauryna, blokuje aktywność enzymu kinazy białkowej C (PKC) beta. Jest to występujący naturalnie enzym, który jest odpowiedzialny za regulowanie aktywności naczyń krwionośnych w siatkówce. U pacjentów z cukrzycą wysoki poziom glukozy (cukru) we krwi może powodować nadmierną aktywność tego enzymu, co prowadzi do uszkodzenia naczyń krwionośnych. Oczekuje się, że blokując PKC beta, ruboksystauryna zapobiegnie uszkodzeniu naczyń krwionośnych i utracie widzenia.

Jaka dokumentacja została przedstawiona przez firmę na poparcie wniosku złożonego do CHMP?

Zanim rozpoczęto badania na ludziach, działania preparatu ARXXANT badano najpierw w modelach eksperymentalnych.

Firma przedstawiła wyniki jednego głównego badania z udziałem 685 pacjentów z umiarkowaną do bardzo nasilonej nieproliferacyjnej retinopatii cukrzycowej. W badaniu tym porównywano działania preparatu ARXXANT z działaniami placebo (nieaktywnego leczenia) w okresie trzech lat. Głównym kryterium oceny skuteczności był odsetek pacjentów w każdej grupie, u których przy końcu badania wystąpiła utrata widzenia. Oceniano to na podstawie pomiaru liczby liter, które pacjenci byli w stanie odczytać na standardowym schemacie do badania ostrości wzroku: spadek o 15 liter lub więcej w okresie sześciu miesięcy uznawano za utratę widzenia.

Na jakim etapie znajdowała się ocena w momencie wycofania wniosku?

Firma wycofała wniosek w dniu 120. CHMP opracował listę pytań, na które firma miała udzielić odpowiedzi, lecz tego dotychczas nie uczyniła.

7 Westferry Circus, Canary Wharf, London E14 4HB, UK
Tel. (44-20) 74 18 84 00 Fax (44-20) 75 23 71 29

E-mail: mail@emea.europa.eu <http://www.emea.europa.eu>

CHMP potrzebuje zwykle do 210 dni na ocenę nowego wniosku. Na podstawie przeglądu wstępnej dokumentacji CHMP przygotowuje listę pytań (w dniu 120.), które są wysyłane do firmy. Po dostarczeniu przez firmę odpowiedzi na te pytania, CHMP dokonuje ich przeglądu i może, przed wydaniem opinii, zadać nowe pytania (w dniu 180.). Po wydaniu opinii przez CHMP Komisja Europejska zazwyczaj potrzebuje około dwóch miesięcy na wydanie pozwolenia na dopuszczenie do obrotu.

Jakie zalecenie wydał wówczas CHMP?

Na podstawie przeglądu danych dostępnych w momencie wycofania pojawiły się zastrzeżenia ze strony CHMP i wstępna opinia wskazywała, że preparat ARXXANT może nie zostać dopuszczony do leczenia pacjentów z retinopatią cukrzycową u pacjentów dorosłych z umiarkowaną lub ciężką nieproliferacyjną retinopatią.

Jakie były główne zastrzeżenia CHMP?

CHMP wyraził obawę, że w badaniu klinicznym nie wykazano skuteczności preparatu ARXXANT w odpowiedni sposób. Komitet wyraził także obawy dotyczące działań niepożądanych leku, a szczególnie zaburzeń rytmu serca.

Dlatego w momencie wycofania, według CHMP nie przedstawiono w wystarczającym stopniu korzyści ze stosowania preparatu ARXXANT oraz nie przeważają one nad rozpoznanymi zagrożeniami.

Jakie przyczyny wycofania wniosku podała firma?

Pismo od firmy powiadamiające Agencję o wycofaniu wniosku jest dostępne [tutaj](#).

Jakie są konsekwencje wycofania wniosku dla pacjentów biorących udział w badaniach klinicznych z użyciem preparatu ARXXANT?

Firma poinformowała CHMP, że nie ma żadnych konsekwencji dla pacjentów obecnie biorących udział w badaniach klinicznych z użyciem preparatu ARXXANT.

W przypadku uczestnictwa w badaniu klinicznym i potrzeby uzyskania więcej informacji na temat leczenia, należy skontaktować się z lekarzem prowadzącym.