

Londyn, dnia 18 października 2006 r.

Nr ref. dok. EMEA/435971/2006

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

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

Dnia 13 października 2006 r. firma *La Jolla Limited* oficjalnie poinformowała Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) o podjęciu decyzji w sprawie wycofania wniosku o dopuszczenie produktu leczniczego Riquent do obrotu, przeznaczonego do leczenia toczniowego zapalenia nerek.

Co to jest Riquent?

Preparat Riquent jest roztworem do wstrzyknięć, który zawiera 50 mg/ml substancji czynnej, abetimus.

W jakim celu miał być stosowany Riquent?

Preparat Riquent miał być stosowany w leczeniu toczniowego zapalenia nerek – stanu zapalnego nerek u pacjentów z toczniem rumieniowatym trzewnym (SLE – choroba autoimmunologiczna wywołana przez własny układ odpornościowy organizmu atakujący prawidłową tkankę), u których występują choroby nerek w wywiadzie i którzy zostali zbadani w celu sprawdzenia, czy odniosą korzyści z tego leku. Preparat Riquent miał za zadanie opóźnić i zmniejszać częstość występowania zaostrzeń (nasilonych objawów choroby nerek).

Ponieważ liczba pacjentów z toczniem rumieniowatym jest niska, gdyż choroba ta występuje rzadko, w dniu 20 listopada 2001 r. preparat Riquent uznano za „lek sierocy” (lek stosowany w rzadkich chorobach).

Jak powinien działać Riquent?

Abetimus, substancja czynna w preparacie Riquent, jest selektywnym lekiem immunosupresyjnym (związkiem, który selektywnie hamuje układ immunologiczny). U większości pacjentów z SLE we krwi występują przeciwciała, które są skierowane przeciwko podwójnej nici DNA (kwas dezoksyrybonukleinowy). Uważa się, że przeciwciała te związane są z rozwojem choroby nerek w przebiegu tocznia. Abetimus jest niewielkim fragmentem dwuniciowego DNA, który został opracowany w taki sposób, aby zmniejszał poziom tych przeciwciał we krwi. Po wstrzyknięciu preparatu Riquent, poziom tych przeciwciał we krwi spadnie, co ma pomóc w ograniczeniu prawdopodobieństwa wystąpienia zaostrzenia u pacjentów.

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

Zanim rozpoczęto badania na ludziach, wpływ preparatu Riquent najpierw badano w modelach eksperymentalnych. Przeprowadzono dwa główne badania z udziałem łącznie 529 pacjentów z SLE, u których porównano preparat Riquent z placebo (leczenie obojętne). Badania te miały na celu wykazać, u ilu pacjentów wystąpiły zaostrzenia oraz jaki był czas do wystąpienia zaostrzeń. Zastosowano metodę pomiaru poziomu białek w moczu i kreatyniny (enzymu wskazującego na czynność nerek) we krwi.

Na jakim etapie znajdowała się ocena w momencie wycofania wniosku?

Firma wycofała wniosek w dniu 114. CHMP oceniał wstępną dokumentację przedstawioną przez firmę.

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 potrzebuje około 2 miesięcy na wydanie pozwolenia na dopuszczenie do obrotu.

Jakie zalecenie wydał wówczas CHMP?

CHMP oceniał wstępną dokumentację przedstawioną przez firmę i nie wydał jeszcze żadnych zaleceń.

Jakie przyczyny wycofania wniosku podała firma?

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

Jakie są konsekwencje wycofania wniosku dla pacjentów biorących udział w badaniach klinicznych / „programach współczucia” (compassionate use) z użyciem preparatu Riquent?

Firma powiadomiła CHMP, że planuje ona kontynuować trwające badania kliniczne leczenia toczniowego zapalenia nerek. Firma nie prowadzi „programów współczucia”. „Program współczucia” to program, w jakim lekarze mogą zażądać leku przeznaczonego do leczenia określonej choroby występującej u jednego z ich pacjentów, zanim lek zostanie całkowicie dopuszczony do obrotu. Jeśli biorą Państwo udział w badaniu klinicznym i chcą Państwo uzyskać więcej informacji na temat leczenia, należy skontaktować się z lekarzem prowadzącym.