



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

den 24 juni 2016
EMA/430267/2016
EMA/H/C/003936

Frågor och svar

Återkallande av ansökan om godkännande för försäljning av Arikayce (amikacin)

Den 8 juni 2016 underrättade Insmad Limited officiellt Europeiska läkemedelsmyndighetens kommitté för humanläkemedel (CHMP) om att de önskar återkalla sin ansökan om godkännande för försäljning för Arikayce som var avsett för behandling av lungsjukdom orsakad av MAC (*Mycobacterium avium*-komplex).

Vad är Arikayce?

Arikayce är ett antibiotikum som innehåller den aktiva substansen amikacin. Det skulle finnas som suspension för nebulisator.

Vad skulle Arikayce användas för?

Arikayce skulle användas för behandling av vuxna med en lungsjukdom som orsakas av *Mycobacterium avium*-komplex (MAC), en grupp bakterier som ofta finns i naturen, till exempel i jord och vatten. Läkemedlet var tänkt att användas på patienter som inte blivit av med en infektion trots tidigare behandling.

Arikayce klassificerades den 8 april 2014 som ett säräkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) avsett att användas vid behandling av infektioner orsakade av MAC och liknande bakterier. Mer information om klassificeringen som säräkemedel finns [här](#).

Hur var det tänkt att Arikayce skulle verka?

Den aktiva substansen i Arikayce, amikacin, är ett väletablerat antibiotikum av gruppen aminoglykosider som verkar genom att störa bakteriernas tillverkning av viktiga proteiner. I detta läkemedel finns amikacin inuti mikroskopiska fettkapslar som kallas liposomer. Liposomerna minskar



nedbrytningstakten av den aktiva substansen, så att den finns kvar i kroppen längre. Eftersom läkemedlet inhaleras når det även lungorna på ett direktare sätt än vid en injektion av amikacin.

Vad har företaget lämnat in som stöd för sin ansökan?

Företaget har lämnat in resultat från en tidig studie (fas II) av 89 vuxna patienter med lunginfektioner som orsakats av MAC eller liknande bakterier. I studien jämfördes Arikayce med placebo (en överksam behandling) och man undersökte främst hur effektivt läkemedlet hade avlägsnat bakterier från patienternas sputum (slem) efter cirka tre månaders behandling.

Hur långt hade utvärderingen kommit när ansökan drogs tillbaka?

Ansökan drogs tillbaka efter det att CHMP hade utvärderat den dokumentation som företaget lämnat in och sammanställt en frågelista. Vissa frågetecken kvarstod när CHMP hade utvärderat företagets svar på den sista omgången frågor.

Vad rekommenderade CHMP vid den tidpunkten?

Efter genomgång av de inlämnade uppgifterna och företagets svar på CHMP:s frågelista ansåg CHMP preliminärt att Arikayce inte kunde godkännas för behandling av lunginfektion med MAC. Kommitténs främsta betänklighet var att den studie som inlämnats i ansökan inte gav tillräckliga bevis för att Arikayce permanent kan avlägsna bakterierna från patienternas sputum.

Vid tidpunkten för återkallandet ansåg CHMP därför att nyttan med Arikayce inte övervägde riskerna.

Vilka skäl angav företaget till att dra tillbaka sin ansökan?

I företagets skrivelse till myndigheten om återkallandet uppgav företaget att dess beslut grundades på förståelsen att CHMP inte skulle rekommendera att läkemedlet godkändes utifrån de aktuella uppgifterna. Företagets skrivelse om återkallandet av ansökan finns [här](#).

Vilka följder får återkallandet för patienter som deltar i kliniska prövningar?

Företaget informerade CHMP om att återkallandet inte får några följder för patienter som för närvarande deltar i kliniska prövningar med Arikayce. Om du deltar i en klinisk prövning och vill få mer information om din behandling kan du kontakta den läkare som behandlar dig.