



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

17 ноември 2011 г.
EMA/888548/2011
EMA/H/C/002200

Въпроси и отговори

Оттегляне на заявлението за разрешаване за употреба на Kalbitor (екалантид)

На 11 ноември 2011 г. Duax s.a. официално уведомява Комитета по лекарствените продукти за хуманна употреба (CHMP), че желае да оттегли заявлението си за разрешаване за употреба на Kalbitor, показан за лечение на симптомите на остри пристъпи на наследствен ангиоедем.

Какво представлява Kalbitor?

Kalbitor представлява лекарство, съдържащо активното вещество екалантид. Той е трябвало да се предлага под формата на инжекционен разтвор.

За какво се очаква да се използва Kalbitor?

Очаква се Kalbitor да бъде използван за лечение на симптомите на пристъпи на наследствен ангиоедем. Пациентите с наследствен ангиоедем имат пристъпи на оток, който може да настъпи навсякъде в организма, като например лицето, крайниците, червата и гърлото, и причинява неприятно усещане и болка, а понякога в случаите на пристъпи в гърлото – затруднено дишане.

Kalbitor е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, което се използва при редки болести) на 18 декември 2002 г. за лечението на ангиоедем.

Как се очаква да действа Kalbitor?

Активното вещество в Kalbitor – екалантид, блокира ензим в кръвта, наречен каликреин.

Каликреинът представлява част от сложна мрежа от протеини (известна като каликреин-кининова система), която има няколко ефекта върху организма. Единият от тях води до повишени нива на протеин, наречен брадикинин, причиняващ разширяване на кръвоносните съдове и изтичане на течност в околните тъкани. Това изтичане на течност причинява пристъпите на оток, които се



наблюдават при ангиоедем. Посредством блокирането на действията на каликреина, Kalbitor се очаква да спомогне за намаляване на отока и свързаните с него симптоми на ангиоедем.

Съдържащият се в Kalbitor екалантид се произвежда по метод, известен като рекомбинантна ДНК технология. Това означава, че се изгражда от клетка, в която е вкаран ген (ДНК), позволяващ ѝ да го произвежда.

Какво е представила фирмата в подкрепа на своето заявление?

Преди провеждане на проучвания при хора ефектите на Kalbitor са изследвани първо върху експериментални модели.

Фирмата представя резултатите от две главни проучвания при пациенти на възраст 10 и повече години с наследствен ангиоедем. В едното участват 72 пациенти, а в другото – 96. Пациентите са лекувани с Kalbitor или плацебо (мнимо лечение) до 8 часа от получаването на пристъп. На онези, при които се счита, че рискът от запушване на дихателните пътища е висок, при нужда са прилагани допълнителни лечения.

Основният показател за ефективност се основава на подобрението на симптомите на пациентите след четири часа. Останалите показатели включват времето до отшумяване на пристъпа.

На какъв етап от оценката е заявлението към момента на оттеглянето?

Заявлението е оттеглено след „ден 181“. Това означава, че CHMP е оценил документацията, представена от фирмата, и е изготвил списък с въпроси. След като CHMP е оценил отговорите на фирмата на последната група въпроси при устно изслушване, все още остават някои неразрешени проблеми.

Какви са препоръките на CHMP към момента?

Въз основа на прегледа на данните и отговорите на фирмата по списъците с въпроси на CHMP към момента на оттеглянето CHMP има известни забележки и изразява предварително становище, че Kalbitor не може да бъде одобрен.

CHMP има забележки относно реакциите на свръхчувствителност, които се наблюдават често при пациентите, лекувани с Kalbitor. Реакциите на свръхчувствителност се проявяват, когато имунната система на организма реагира спрямо лекарство, и включват реакции, известни като алергични. CHMP има забележки и във връзка с ефективността на предложените дози при пациентите с по-голямо телесно тегло.

Поради това към момента на оттеглянето становището на CHMP е, че ползите от Kalbitor не превишават рисковете.

Какви причини посочва фирмата за оттегляне на заявлението?

Писмото, с което фирмата уведомява Агенцията за оттеглянето на заявлението, може да се намери в раздел „All documents“.

Какви са последствията от оттеглянето за пациентите, участващи в клинични изпитвания или програми с милосърдна цел?

Фирмата уведомява CHMP, че оттеглянето няма да има последствия за пациентите, включени понастоящем в клинични изпитвания.

Резюме на становището на Комитета по лекарствата сираци за Kalbitor може да се намери на уебсайта на Агенцията: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.