

Otázky a odpovědi týkající se stažení žádosti o vydání rozhodnutí o registraci přípravku Vekacia

Mezinárodní nechráněný název (INN): *ciclosporin*

Dne 14. listopadu 2008 společnost Novagali Pharma S.A. oficiálně oznámila Výboru pro humánní léčivé přípravky (CHMP), že se rozhodla stáhnout svou žádost o vydání rozhodnutí o registraci přípravku Vekacia určeného k léčbě vernální keratokonjunktivitidy. Přípravek Vekacia byl označen jako léčivý přípravek pro vzácná onemocnění dne 6. dubna 2006.

Co je Vekacia?

Vekacia je léčivý přípravek, který obsahuje ciklosporin. Měl být k dispozici ve formě očních kapek.

Na co měl být přípravek Vekacia používán?

Přípravek Vekacia měl být používán k léčbě vernální keratokonjunktivitidy. Jedná se o zánět spojivek (blanky, která se táhne podél očního víčka) a rohovky (průhledné vrstvy před zornicí) způsobené alergií. Vernální keratokonjunktivitida je dlouhodobé onemocnění, které postihuje zejména chlapce žijící v teplém a suchém podnebí, jakou jsou například středomořské země. Pojem „vernální“ znamená, že se onemocnění vyskytuje obvykle na jaře. Toto onemocnění může vést ke ztrátě zraku.

Jak měl přípravek Vekacia působit?

Léčivá látka přípravku Vekacia, ciklosporin, je imunosupresivum. To znamená, že omezuje aktivitu imunitního systému (přirozeného obranného mechanismu těla). Ciklosporin se používá od poloviny 80. let 20. století jako podpora prevence odmítnutí transplantátu u pacientů (tj. pokud imunitní systém napadá transplantovaný orgán). U pacientů s vernální keratokonjunktivitidou měl ciklosporin podávaný ve formě očních kapek potlačit lokální obranné reakce organismu, které vyvolávají zánět spojivek a rohovky.

Jakou dokumentaci předložila společnost výboru CHMP na podporu své žádosti?

Vzhledem k tomu, že se ciklosporin již mnoho let používá, žadatel předložil údaje o experimentálních modelech z vědecké literatury.

Na podporu užívání přípravku Vekacia k léčbě vernální keratokonjunktivitidy předložila společnost výsledky jedné studie, do které bylo zařazeno 118 dětí (starších 4 let) a dospívajících. Pacienti byli léčeni přípravkem Vekacia v koncentraci 0,05 % (0,5 mg ciklosporinu na mililitr) či 0,1 % (1 mg/ml), nebo placebem (neúčinnými očními kapkami). V tomto případě se jednalo o „vehikulum“ (stejně oční kapky, ale bez ciklosporinu). Hlavním zvoleným měřítkem účinnosti byla změna příznaků onemocnění po čtyřech týdnech zaznamenaná lékařem formou skóre. Mezi posuzované příznaky patřily: pálení, svědění, bolest, zalepená oční víčka, pocit cizího tělíska v oku či fotofobie (přecitlivělost oka na světlo).

V jaké fázi bylo posuzování žádosti v době, kdy byla stažena?

Společnost stáhla svou žádost 175. den od jejího podání. Výbor CHMP vyhodnotil odpovědi společnosti na předložený seznam otázek, nicméně některé otázky zůstaly stále nedořešeny. Výbor CHMP obvykle posoudí novou žádost do 210 dní. Na základě posouzení výchozí dokumentace výbor CHMP vypracuje seznam otázek (120. den), který je zaslán společnosti. Jakmile společnost předloží odpovědi na otázky, výbor CHMP je vyhodnotí a před vydáním stanoviska může společnosti

položít další otázky (180. den). Poté, co výbor CHMP vydá své stanovisko, Evropská komise obvykle udělí registraci přibližně do dvou měsíců.

Jaké bylo doporučení výboru CHMP v dané době?

Na základě vyhodnocení dostupných údajů a odpovědí společnosti na seznam otázek měl výbor CHMP v době stažení žádosti určité pochybnosti a jeho prozatímní stanovisko bylo, že přípravek Vekacia nemůže být schválen k léčbě vernální keratokonjunktivitidy.

Čím byl výbor CHMP nejvíce znepokojen?

Výbor CHMP byl znepokojen tím, že účinnost přípravku Vekacia v porovnání s vehikulem nebyla prokázána. Pochybnosti výboru CHMP se týkaly způsobu navržení studie, pokud jde o výběr léčených pacientů, způsob měření příznaků a způsob analyzování výsledků studie. Výbor rovněž poznamenal, že nebyla zkoumána dlouhodobá účinnost léčivého přípravku.

Proto výbor CHMP v době stažení žádosti zastával názor, že přínos přípravku Vekacia nebyl dostatečným způsobem prokázán a že přínosy tohoto přípravku nepřevyšují zjištěná rizika.

Jaké důvody stažení žádosti uvedla společnost?

Dopis, v němž společnost uvědomuje agenturu EMEA o svém rozhodnutí stáhnout žádost, je k dispozici [zde](#).

Jaké jsou důsledky stažení žádosti pro pacienty zařazené do klinických studií nebo programů, v nichž je přípravek Vekacia podáván v rámci zvláštní léčby z humánních důvodů (na základě principu tzv. compassionate use)?

Společnost informovala výbor CHMP, že v současné době neprobíhají žádné klinické studie přípravku Vekacia ani programy, v nichž by tento přípravek byl podáván v rámci zvláštní léčby z humánních důvodů.