



**Fragen und Antworten zur Rücknahme des Antrags auf Genehmigung für das
Inverkehrbringen
von
Vekacia**

Internationaler Freiname (INN): *Ciclosporin*

Am 14. November 2008 teilte Novagali Pharma S.A. dem Ausschuss für Humanarzneimittel (CHMP) offiziell mit, dass das Unternehmen seinen Antrag auf Genehmigung für das Inverkehrbringen von Vekacia zur Behandlung von vernaler Konjunktivitis zurückzieht. Vekacia wurde am 6. April 2006 als Arzneimittel für seltene Leiden ausgewiesen.

Was ist Vekacia?

Vekacia ist ein Arzneimittel, das den Wirkstoff Ciclosporin enthält. Es hätte als Augentropfen erhältlich sein sollen.

Wofür sollte Vekacia angewendet werden?

Vekacia sollte zur Behandlung der vernalen Konjunktivitis angewendet werden. Dabei handelt es sich um eine Entzündung der Bindehaut (der Membran, die die Augenlider innen auskleidet) und der Hornhaut (der durchsichtigen Schicht vor der Pupille), die durch eine Allergie ausgelöst wird. Vernale Konjunktivitis ist eine langwierige Erkrankung, die vor allem kleine Jungen in warmen, trockenen Klimaten, wie beispielsweise in den Mittelmeerländern, betrifft. „Vernal“ bedeutet, dass die Erkrankung in der Regel im Frühjahr auftritt. Die Krankheit kann zur Erblindung führen.

Wie soll Vekacia wirken?

Der Wirkstoff in Vekacia, Ciclosporin, ist ein Immunsuppressivum, d. h. er setzt die Aktivität des Immunsystems (der natürlichen Abwehrkräfte des Körpers) herab. Ciclosporin wird seit Mitte der 1980er Jahre zur Unterdrückung von Abstoßungsreaktionen nach Organtransplantationen eingesetzt (wenn das Immunsystem das transplantierte Organ angreift). Das als Augentropfen verabreichte Ciclosporin sollte bei Patienten mit vernaler Konjunktivitis die lokalen Immunreaktionen unterdrücken, die eine Entzündung der Bindehaut und der Hornhaut auslösen.

Welche Unterlagen hat das Unternehmen dem CHMP zur Stützung des Antrags vorgelegt?

Da Ciclosporin seit vielen Jahren verwendet wird, legte der Antragsteller Daten zu Versuchsmodellen aus der wissenschaftlichen Literatur vor.

Um den Einsatz von Vekacia bei vernaler Konjunktivitis zu rechtfertigen, legte das Unternehmen die Ergebnisse einer Studie an 118 Kindern (im Alter über vier Jahren) und Jugendlichen vor. Die Patienten wurden mit Vekacia in einer Konzentration von 0,05 % (0,5 mg Ciclosporin pro Milliliter) bzw. 0,1 % (1 mg/ml) oder mit einem Placebo (einem Scheinmedikament) behandelt. In letzterem Fall handelte es sich um die Trägersubstanz (die gleichen Augentropfen, aber ohne Ciclosporin). Der Hauptindikator für die Wirksamkeit war die von einem Arzt bewertete Veränderung der Allergiesymptome nach vier Wochen. Zu den untersuchten Symptomen gehörten: Brennen, Jucken, Schmerzen, klebrige Augenlider, Fremdkörpergefühl im Auge oder Fotophobie (Überempfindlichkeit des Auges gegenüber Licht).

In welchem Stadium der Beurteilung befand sich der Antrag zum Zeitpunkt der Rücknahme?

Als das Unternehmen seinen Antrag zurücknahm, war in dem Antragsverfahren Tag 175 erreicht. Nachdem der CHMP die Antworten des Unternehmens auf die ihm gestellten Fragen geprüft hatte, waren immer noch einige Fragen ungeklärt.

Zur Beurteilung eines neuen Antrags benötigt der CHMP in der Regel bis zu 210 Tage. Basierend auf der Prüfung der anfänglich eingereichten Unterlagen erstellt der CHMP an Tag 120 eine Liste von Fragen, die dem Unternehmen zugesandt wird. Sobald das Unternehmen Antworten auf diese Fragen übermittelt hat, werden diese vom CHMP geprüft. Bevor der CHMP ein Gutachten abgibt, kann er dem Unternehmen an Tag 180 etwaig verbleibende Fragen stellen. Im Anschluss an das Gutachten des CHMP dauert es in der Regel etwa zwei Monate, bis die Europäische Kommission eine Zulassung erteilt.

Wie lautete die Empfehlung des CHMP zu diesem Zeitpunkt?

Aufgrund der geprüften Daten und Antworten des Unternehmens auf die Liste mit Fragen des CHMP bestanden seitens des CHMP zum Zeitpunkt der Rücknahme gewisse Bedenken. Der Ausschuss war der vorläufigen Ansicht, dass Vekacia für die Behandlung von vernaler Konjunktivitis nicht hätte zugelassen werden können.

Was waren die wesentlichen Bedenken des CHMP?

Der CHMP äußerte Bedenken, dass die Wirksamkeit von Vekacia im Vergleich mit der Trägersubstanz nicht nachgewiesen werden konnte. Die Bedenken des Ausschusses bezogen sich auf die Art und Weise, wie die Studie angelegt war, d. h. auf die Auswahl der behandelten Patienten, die Messung der Symptome und die Analyse der Ergebnisse. Der Ausschuss stellt ferner fest, dass die Langzeitwirkung des Arzneimittels nicht untersucht wurde.

Aus diesem Grund vertrat der CHMP zum Zeitpunkt der Rücknahme die Ansicht, dass der Nutzen von Vekacia nicht hinreichend nachgewiesen worden war und ein etwaiger Nutzen die festgestellten Risiken nicht überwog.

Aus welchen Gründen hat das Unternehmen den Antrag zurückgenommen?

Das Schreiben, in dem das Unternehmen die EMEA über die Rücknahme des Antrags informiert, kann [hier](#) abgerufen werden.

Welche Konsequenzen hat die Rücknahme für Patienten, die derzeit an klinischen Studien bzw. „Compassionate-Use“-Programmen mit Vekacia teilnehmen?

Das Unternehmen setzte den CHMP davon in Kenntnis, dass in Europa derzeit keine Patienten an klinischen Studien oder „Compassionate-Use“-Programmen mit Vekacia teilnehmen.