



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

23 Ιουνίου 2017
EMA/CHMP/380586/2017
EMA/H/C/0004330

Ερωτήσεις και απαντήσεις

Απόσυρση της αίτησης για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας στο Elmisol (λεβαμιζόλη)

Στις 29 Μαΐου 2017, η ACE Pharmaceuticals BV κοινοποίησε επίσημα στην Επιτροπή Φαρμάκων για Ανθρώπινη Χρήση (CHMP) την πρόθεσή της να αποσύρει την αίτηση για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας για το Elmisol, για τη θεραπεία του νεφρωσικού συνδρόμου.

Τι είναι το Elmisol;

Το Elmisol είναι φάρμακο που περιέχει τη δραστική ουσία υδροχλωρική λεβαμιζόλη. Επρόκειτο να διατεθεί υπό μορφή δισκίων (5, 10, 25 και 50 mg).

Σε ποιες περιπτώσεις επρόκειτο να χρησιμοποιηθεί το Elmisol;

Το Elmisol επρόκειτο να χρησιμοποιηθεί σε παιδιά ηλικίας 2 ετών και άνω για τη θεραπεία του νεφρωσικού συνδρόμου. Το νεφρωσικό σύνδρομο είναι μια νεφρική νόσος που χαρακτηρίζεται από την παρουσία μεγάλων ποσοτήτων πρωτεΐνης στα ούρα και έχει ως αποτέλεσμα τη συσσώρευση υγρού στον οργανισμό, που συνοδεύεται από πρήξιμο (οίδημα), υψηλή αρτηριακή πίεση και αύξηση βάρους. Το Elmisol επρόκειτο να χρησιμοποιηθεί σε ασθενείς στους οποίους τα συμπτώματα συνέχιζαν να επανεμφανίζονται έπειτα από ανταπόκριση σε αρχική θεραπεία με κορτικοστεροειδή φάρμακα (νεφρωσικό σύνδρομο ευαίσθητο στα στεροειδή).

Το Elmisol χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χορηγείται σε σπάνιες ασθένειες) στις 28 Οκτωβρίου 2005, για τη θεραπεία του νεφρωσικού συνδρόμου. Περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τον χαρακτηρισμό των ορφανών φαρμάκων διατίθενται [εδώ](#).

Πώς δρα το Elmisol;

Η λεβαμιζόλη χρησιμοποιείται επί σειρά ετών για τη θεραπεία διαφόρων παθήσεων, συμπεριλαμβανομένων λοιμώξεων από σκώληκα και διαφόρων τύπων καρκίνου. Δεν έχει καταστεί



πλήρως κατανοητός ο τρόπος δράσης της λεβαμιζόλης στο νεφρωσικό σύνδρομο, ωστόσο είναι γνωστό ότι επηρεάζει το ανοσοποιητικό σύστημα (τις φυσικές άμυνες του οργανισμού). Στους ασθενείς με νεφρωσικό σύνδρομο, το ανοσοποιητικό σύστημα θεωρείται ότι επιτίθεται εσφαλμένα στον νεφρό, με αποτέλεσμα να προκαλείται διαρροή πρωτεϊνών από τον νεφρό προς τα ούρα.

Η καταστολή του ανοσοποιητικού συστήματος με κορτικοστεροειδή φάρμακα μπορεί να θέσει τη νόσο υπό έλεγχο, ωστόσο αυτά τα φάρμακα μπορούν να έχουν σημαντικές ανεπιθύμητες ενέργειες και να επηρεάσουν την ανάπτυξη σε νεαρούς ασθενείς. Η λεβαμιζόλη θεωρείται ότι τροποποιεί τη δράση του ανοσοποιητικού συστήματος, συμβάλλοντας στον έλεγχο της νόσου και μειώνοντας κατά αυτό τον τρόπο την ποσότητα των κορτικοστεροειδών που χρειάζεται να λάβει ο ασθενής.

Τι είδους τεκμηρίωση υπέβαλε η παρασκευάστρια εταιρεία προς στήριξη της αίτησής της;

Η εταιρεία προσκόμισε τα αποτελέσματα μελετών σχετικά με την ποιότητα, την ασφάλεια και την αποτελεσματικότητα του φαρμάκου, καθώς και πληροφορίες από τη βιβλιογραφία. Στο πλαίσιο της κύριας μελέτης συγκρίθηκε η λεβαμιζόλη με εικονικό φάρμακο (εικονική θεραπεία) σε παιδιά με νεφρωσικό σύνδρομο το οποίο είχε τεθεί υπό έλεγχο με χορήγηση κορτικοστεροειδών. Στο πλαίσιο της μελέτης εξετάστηκε η ικανότητα του φαρμάκου να αποτρέψει την επανεμφάνιση της νόσου.

Σε ποιο στάδιο της αξιολόγησης βρισκόταν η αίτηση τη στιγμή της απόσυρσης;

Η αίτηση αποσύρθηκε αφού η CHMP είχε αξιολογήσει την αρχική τεκμηρίωση που είχε υποβληθεί από την εταιρεία και είχε καταρτίσει κατάλογο ερωτήσεων. Κατά τη στιγμή της απόσυρσης της αίτησης, η εταιρεία δεν είχε ακόμη απαντήσει στον κατάλογο των ερωτήσεων.

Ποια ήταν η σύσταση της CHMP τη στιγμή της απόσυρσης;

Βάσει της εξέτασης των υποβληθέντων στοιχείων τη στιγμή της απόσυρσης, η CHMP εξέφρασε ορισμένες ανησυχίες και διατύπωσε την προσωρινή γνώμη ότι το Elmisol δεν θα μπορούσε να έχει εγκριθεί για τη θεραπεία του νεφρωσικού συνδρόμου. Η Επιτροπή εξέφρασε την ανησυχία της σχετικά με ορισμένα στοιχεία όσον αφορά τον τρόπο με τον οποίο διεξήχθη η κύρια μελέτη και το κατά πόσο αυτά τα στοιχεία ήταν σύμφωνα με τις απαιτήσεις της ορθής κλινικής πρακτικής (GCP). Άλλες ανησυχίες ήταν οι εξής: το ενδεχόμενο εσφαλμένης δοσολογίας (καθώς οι διαφορετικές περιεκτικότητες δισκίου ενδέχεται να προκαλέσουν σύγχυση), ο τρόπος με τον οποίο ελέγχθηκε η σταθερότητα της δραστικής ουσίας στα δισκία και οι ανεπαρκείς πληροφορίες σχετικά με τις δράσεις του φαρμάκου, την κατανομή στον οργανισμό και τους κινδύνους αλληλεπιδράσεων με άλλα φάρμακα.

Ως εκ τούτου, τη στιγμή της απόσυρσης, η CHMP διατύπωσε τη γνώμη ότι τα οφέλη του Elmisol στην προτεινόμενη ένδειξη δεν υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό.

Ποιοι ήταν οι λόγοι απόσυρσης της αίτησης που παρέθεσε η εταιρεία;

Στην επιστολή της με την οποία κοινοποιεί στον Οργανισμό την απόσυρση της αίτησης, η εταιρεία δήλωσε ότι απέσυρε την αίτησή της διότι υπήρχαν ανησυχίες σχετικά με την κύρια μελέτη οι οποίες δεν θα επέτρεπαν τη χρήση της για την υποστήριξη της αίτησης.

Η επιστολή απόσυρσης διατίθεται [εδώ](#).

Ποιες είναι οι επιπτώσεις από την απόσυρση της αίτησης στους ασθενείς που συμμετέχουν σε κλινικές δοκιμές;

Η εταιρεία ενημέρωσε την CHMP ότι δεν υπάρχουν συνέπειες για τους ασθενείς που συμμετέχουν επί του παρόντος σε κλινικές δοκιμές με το Elmisol.

Εάν συμμετέχετε σε κλινική δοκιμή και χρειάζεστε περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη θεραπεία σας, συμβουλευθείτε τον γιατρό που σας τη χορηγεί.