



**Kysymyksiä ja vastauksia myyntilupahakemuksen peruuttamisesta**  
**Lääkevalmiste:**  
**Vekacia**

Kansainvälinen yleisnimi (INN): *siklosporiini*

Novagali Pharma S.A. ilmoitti virallisesti 14. marraskuuta 2008 lääkevalmistekomitealle (CHMP) haluavansa peruuttaa vernaalisen keratokonjunktiviitin hoitoon tarkoitettun Vekacian myyntilupahakemuksen. Vekacia nimettiin harvinaislääkkeeksi 6. huhtikuuta 2006.

**Mitä Vekacia on?**

Vekacia on siklosporiinia sisältävä lääkevalmiste. Valmistetta oli tarkoitus saada silmätippoina.

**Mihin Vekacia aiottiin käyttää?**

Vekaciaa aiottiin käyttää vernaalisen keratokonjunktiviitin hoitoon. Sairaus on allergiasta johtuva sidekalvon (peittää silmäluomea) ja sarveiskalvon (pupillin edessä oleva läpinäkyvä kalvo) tulehdus. Vernaalinen keratokonjunktiviitti on pitkäaikaissairaus, joka vaivaa pääasiassa nuoria poikia lämpimässä ja kuivassa ilmastossa, kuten Välimeren maissa. Vernaalinen viittaa siihen, että sitä esiintyy yleensä keväällä. Sairaus voi johtaa näön menettämiseen.

**Miten Vekacian odotettiin vaikuttavan?**

Vekacian vaikuttava aine, siklosporiini, on immuunialpaaja. Se hillitsee immuunijärjestelmän (elimistön luonnollinen puolustusjärjestelmä) toimintaa. Siklosporiinia on käytetty 1980-luvun puolivälistä lähtien elinsiirtopotilaiden hylkimisreaktion ehkäisemiseen (kun immuunijärjestelmä hyökkää elinsiirrettä vastaan). Vernaalisessa keratokonjunktiviitissa silmätippoina annettavan siklosporiinin odotettiin estävän paikalliset immunoreaktiot, jotka johtavat tulehdukseen sidekalvolla ja sarveiskalvolla.

**Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevalmistekomitealle hakemuksensa tueksi?**

Koska siklosporiinia on käytetty useiden vuosien ajan, hakija esitti tieteellisestä kirjallisuudesta saatuja tietoja kokeellisista malleista.

Yhtiö esitteli tulokset tutkimuksesta, johon osallistui 118 lasta (yli 4-vuotiasta) ja nuorta, tukemaan Vekacian käyttöä vernaalisessa keratokonjunktiviitissa. Hoidetuille potilaille annettiin Vekaciaa 0,05 %:n (0,5 mg siklosporiinia millilitraa kohti) tai 0,1 %:n (1 mg/ml) pitoisuuksina tai lumesilmätippoja, jolloin käytettiin vehikkeliä (samaa silmätippojen perusainetta ilman siklosporiinia). Valittu tehokkuuden pääasiallinen mitta oli muutos sairauden oireissa neljän viikon kuluttua lääkärin tekemän pisteytyksen perusteella. Tarkasteltavat oireet olivat seuraavat: polte, kutina, kipu, silmäluomien tahmeus, vierasesineen tunne silmässä tai fotofobia (valonarkuus).

**Miten pitkällä hakemuksen arviointi oli peruuttamishetkellä?**

Hakemusta oli käsitelty 175 päivää, kun yritys peruutti sen. Lääkevalmistekomitean arvioitua yhtiöltä kysymysluetteloon saamansa vastaukset jäljelle jäi vielä joitakin ratkaisemattomia kysymyksiä. Lääkevalmistekomitea arvioi uuden hakemuksen yleensä 210 päivässä. Lääkevalmistekomitea laatii alkuperäisten asiakirjojen tarkastuksen perusteella kysymysluettelon 120. päivään mennessä ja lähettää sen yhtiölle. Yhtiön toimitettua vastaukset kysymyksiin lääkevalmistekomitea tarkastaa ne ja saattaa ennen lausunnon antamista pyytää vastaukset jäljelle jääneisiin kysymyksiin 180. päivään mennessä.

Lääkevalmistekomitean lausunnon jälkeen Euroopan komissiolta menee yleensä noin kaksi kuukautta myyntiluvan myöntämiseen.

### **Mikä oli lääkevalmistekomitean suositus tuolloin?**

Saamiensa tietojen ja yrityksen kysymysluetteloon antamien vastausten tarkastelun perusteella lääkevalmistekomitea suhtautui varauksellisesti joihinkin kysymyksiin hakemuksen peruuttamisen ajankohtana. Sen alustava kanta oli, ettei Vekaciaa voi hyväksyä vernaalisen keratokonjunktiviitin hoitoon.

### **Mitkä olivat lääkevalmistekomitean tärkeimmät huolenaiheet?**

Lääkevalmistekomitean huolena oli, että Vekacian tehokkuutta ei ollut osoitettu, kun sitä verrattiin vehikkeliin. Komitean huoli liittyi tutkimusmalliin ja siinä lähinnä siihen, miten hoidettavat potilaat valittiin, miten oireita mitattiin ja miten tutkimustulokset analysoitiin. Lääkevalmistekomitea kiinnitti huomiota myös siihen, ettei lääkkeen pitkäaikaisvaikutuksia ollut tutkittu. Sen vuoksi lääkevalmistekomitean kantana peruuttamishetkellä oli, ettei Vekacian etuja ollut osoitettu riittävästi ja ettei hyöty ollut havaittuja riskejä suurempi.

### **Mistä syistä yhtiö peruutti hakemuksen?**

Yrityksen kirje, jossa se ilmoittaa EMEAlle hakemuksen peruuttamisesta, on [tässä](#).

### **Mitä seurauksia hakemuksen peruuttamisesta on Vekacian kliinisiin tutkimuksiin tai erityiskäyttöohjelmaan osallistuvilla potilaille?**

Yhtiö ilmoitti lääkevalmistekomitealle, ettei Vekaciaa koskevia kliinisiä tutkimuksia tai erityiskäyttöohjelmia ole käynnissä Euroopassa.