

Kérdések és válaszok a forgalomba hozatali engedély iránti kérelem visszavonásával kapcsolatban

Vekacia

Nemzetközi szabadnév (INN): *ciclosporin*

2008. november 14-én a Novagali Pharma S.A. hivatalosan értesítette az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottságát (CHMP), hogy vissza kívánja vonni a keratoconjunctivitis vernalis (tavaszi kötő- és szaruhártya-gyulladás) kezelésére szánt Vekacia-ra vonatkozó forgalomba hozatali engedély iránti kérelmét. 2006. április 6-án a Vekacia-t ritka betegség gyógyszerévé minősítették.

Milyen típusú gyógyszer a Vekacia?

A Vekacia ciklosporin hatóanyagot tartalmazó gyógyszer. Szemcsepp formájában hozták volna forgalomba.

Milyen betegségek kezelésére szánták a Vekacia-t?

A Vekacia-t a keratoconjunctivitis vernalis kezelésére szánták. A betegség a conjunctiva (a szemhéj membránja) és a cornea (a pupilla előtti átlátszó réteg) gyulladása, amit allergia okoz. A keratoconjunctivitis vernalis hosszú távú betegség, ami elsősorban a meleg, száraz éghajlaton, mint pl. a mediterrán országokban élő fiatal fiúkat érint. A "vernalis" jelentése az, hogy a betegség általában tavasszal jelentkezik. A betegség a látás elvesztését is okozhatja.

Milyen hatásmechanizmust vártak a Vekacia-tól?

A Vekacia hatóanyaga, a ciklosporin, egy immunuszuppresszáns. Ez azt jelenti, hogy hatása révén az immunrendszer (a szervezet természetes védekező rendszere) működése csökken. A ciklosporint az 1980-as évek közepe óta használják transzplantált betegeknek a szövetkilökődés (amikor az immunrendszer megtámadja a beültetett szervet) megelőzésének a céljából. A keratoconjunctivitis vernalis betegeknek a ciklosporint szemcseppeként szerették volna alkalmazni, a conjunctiva és cornea gyulladást okozó helyi immunreakciók csökkentésére.

Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a CHMP-nek a kérelem alátámasztására?

Mivel a ciklosporint már sok éve alkalmazzák, a kérelmező a tudományos szakirodalomban szereplő kísérleti modellekről nyújtott be adatokat.

A Vekacia keratoconjunctivitis vernalis kezelésében történő alkalmazásának igazolására, a vállalat egy 118 gyermek (4 évesnél idősebb) és serdülő bevonásával lezajlott vizsgálat eredményét nyújtotta be. A betegeket 0,05%-os (0,5 mg/ml ciklosporin), 0,1%-os (1 mg/ml) Vekacia koncentráttal, illetve placebóval (hatóanyag nélküli szemcseppek) kezelték. Ebben az esetben a placebó a tényleges gyógyszer hordozóanyaga volt (ugyanaz a szemcsepp, de ciklosporin nélkül). A hatásosság fő mértéke a betegek tüneteiben történt, orvos által pontozott változás volt 4 heti kezelést követően. A vizsgálandó tünetek köre: égő, viszkető érzet, ragadós szemhéj, idegen test érzékelése a szemben, illetve fotofóbia (a szem túlérzékenysége fényre).

A visszavonás előtt meddig jutott el a kérelem az elbírálási folyamatban?

A vállalat a kérelmet a benyújtást követő 175. napon vonta vissza. Azt követően, hogy a CHMP értékelte a vállalatnak a kérdéssorra adott válaszait, még mindig maradt néhány megoldatlan probléma.

A CHMP-nek normál körülmények között legfeljebb 210 nap áll rendelkezésére egy új kérelem kiértékelésére. Az eredetileg benyújtott dokumentáció áttekintése alapján a CHMP a 120. napon listát állít össze a kérdésekről, amelyet elküld a vállalat részére. Miután a vállalat válaszolt a kérdésekre, a CHMP véleményezés előtt áttekinti azokat, és további, nyitva maradt kérdéseket tehet fel a 180. napon. A CHMP állásfoglalását követően rendszerint körülbelül két hónap telik el, amíg az Európai Bizottság kiadja az engedélyt.

Mit tartalmazott a CHMP ajánlása az adott időpontban?

Az adatok és a vállalat által a CHMP listáján szereplő kérdésekre adott válaszok a visszavonás időpontjában történt áttekintése alapján a CHMP bizonyos aggályainak adott hangot, és az volt az ideiglenes véleménye, hogy a Vekacia nem engedélyezhető a keratoconjunctivitis vernalis kezelésére.

Mik voltak a CHMP legfőbb aggályai?

A CHMP aggodalmát fejezte ki amiatt, hogy a Vekacia hatékonyságát nem tudták kellő mértékben bizonyítani a placebóval szemben. A bizottság a vizsgálat tervezésével, a kezelt betegek kiválasztásával kapcsolatban, a tünetek mérésével és a vizsgálat eredményeinek elemzésével kapcsolatban fejezte ki aggályait. A bizottság megjegyezte továbbá, hogy a gyógyszer hosszú távú hatását nem vizsgálták.

Ezért a visszavonás időpontjában a CHMP meglátása szerint a Vekacia előnyei nem igazolódtak kellő mértékben, illetve azok nem haladták meg az ismert kockázatokat.

Mivel indokolta a vállalat a kérelem visszavonását?

A vállalat levele, amelyben értesíti az EMEA-t a kérelem visszavonásáról, [itt](#) található.

Milyen következményekkel jár a visszavonás azokra a betegekre nézve, akik részt vettek Vekacia-val folytatott klinikai tesztekben / engedélyezés előtti kezelési programokban?

A vállalat tájékoztatta a CHMP-t arról, hogy Európában nem zajlanak klinikai vizsgálatok, illetve engedélyezés előtti kezelési programok a Vekacia-val kapcsolatban.