



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2017. június 23.
EMA/CHMP/380586/2017
EMA/H/C/0004330

Kérdések és válaszok

Az Elmisol-ra (levamizol) vonatkozó forgalomba hozatali engedély iránti kérelem visszavonása

2017. május 29-én az ACE Pharmaceuticals BV hivatalosan értesítette az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottságát (CHMP), hogy vissza kívánja vonni a nefrózis szindróma kezelésére szánt Elmisol-ra vonatkozó forgalomba hozatali engedély iránti kérelmét.

Milyen típusú gyógyszer az Elmisol?

Az Elmisol egy levamizol-hidroklorid nevű hatóanyagot tartalmazó gyógyszer. Tabletta (5, 10, 25 és 50 mg) formájában kívánták forgalomba hozni.

Milyen alkalmazásra szánták az Elmisol-t?

Az Elmisol-t a nefrózis szindróma kezelésére szánták gyermekeknél 2 éves kortól. A nefrózis szindróma egy vesebetegség, amelyet a vizeletben nagy mennyiségű fehérje jelenléte jellemez, és a szervezetben a folyadék felszaporodásához vezet, duzzanatokkal (ödéma), magas vérnyomással és testsúly-növekedéssel. Az Elmisol-t olyan betegeknek tervezték alkalmazni, akiknek a tünetei állandóan visszatértek a kortikoszteroid gyógyszerekkel végzett, kezdeti kezelésre adott válasz után (szteroid-szenzitív nefrózis szindróma).

Az Elmisol-t 2005. október 28-án a nefrózis szindróma tekintetében „ritka betegség elleni gyógyszerre” minősítették. A ritka betegség elleni gyógyszerre minősítésről további információ [itt](#) található.

Hogyan fejt ki hatását az Elmisol?

A levamizolt több éve alkalmazzák különböző betegségek kezelésére, beleértve a féregfertőzéseket és a daganatokat. Nem teljesen ismert, hogy hogyan fejt ki hatását a levamizol nefrózis szindróma esetén, azonban azt tudjuk, hogy az immunrendszert (a szervezet természetes védekezőrendszere)



befolyásolja. Úgy hiszik, hogy a nefrózis szindrómában szenvedő betegeknél az immunrendszer tévedésből megtámadja a vesét, ami a fehérjék vizeletbe ürülését eredményezi a vesékből.

Az immunrendszer elnyomása révén a kortikoszteroidok képesek kordában tartani a betegséget, azonban ezeknek a gyógyszereknek jelentős mellékhatásaik lehetnek és befolyásolhatják a fiatal betegek esetében a növekedést. Úgy vélik, hogy a levamizol módosítja az immunrendszer működését, ezáltal hozzájárul a betegség kontrolljához, és így csökkenti a beteg által igényelt kortikoszteroidok mennyiségét.

Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a kérelem alátámasztására?

A vállalat a gyógyszer minőségére, biztonságosságára és hatásosságára vonatkozó vizsgálatok eredményeit nyújtotta be, beleértve a szakirodalomból származó információkat is. A fő vizsgálatban a levamizolt placebóval (hatóanyag nélküli kezelés) hasonlították össze olyan, nefrózis szindrómában szenvedő gyermekeknél, akiket kortikoszteroidokkal kontroll alatt tartottak. A vizsgálatban a gyógyszernek a betegség kiújulását megakadályozó képességét tanulmányozták.

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

A kérelmet azt követően vonták vissza, hogy a CHMP már értékelte a vállalat által eredetileg benyújtott dokumentációt, és kidolgozott egy kérdéslistát. A vállalat a visszavonás időpontjában még nem válaszolt a kérdésekre.

Mit tartalmazott a CHMP ajánlása az adott időpontban?

A visszavonás időpontjában az adatok áttekintése alapján a CHMP részéről néhány aggály merült fel, és az volt az ideiglenes véleménye, hogy az Elmisol alkalmazása nem engedélyezhető a nefrózis szindróma kezelésére. A bizottság aggályát fejezte ki egyes elemekkel kapcsolatosan, ahogyan a fő vizsgálatot elvégezték, és hogy vajon ezek megfeleltek-e a helyes klinikai gyakorlat (GCP) követelményeinek. A további aggályok érintették az adagolási hibák lehetőségét, mivel a tabletták különböző hatáserekségeit fel lehet cserélni, a tablettában található hatóanyag stabilitása vizsgálatának módját, valamint a gyógyszer hatására, szervezetben való eloszlására és az egyéb gyógyszerekkel való kölcsönhatások kockázatára vonatkozó, nem megfelelő információkat.

Ezért a visszavonás időpontjában a CHMP meglátása szerint az Elmisol előnyei a javasolt javallatban nem haladták meg a kockázatokat.

Mivel indokolta a vállalat a kérelem visszavonását?

Az Ügynökséget a kérelem visszavonásáról értesítő levelében a vállalat úgy nyilatkozott, hogy a visszavonás okát a fő vizsgálatokkal kapcsolatos aggályok képezték, amelyek megakadályoznák a vizsgálat felhasználását a kérelem alátámasztására.

A visszavonásról szóló levél [itt](#) olvasható.

Milyen következményekkel jár a visszavonás azokra a betegekre nézve, akik részt vesznek a klinikai vizsgálatokban?

A vállalat tájékoztatta a CHMP-t, hogy a visszavonásnak az Elmisol-lal végzett klinikai vizsgálatokban jelenleg részt vevő betegekre nézve nincsenek következményei.

Ha Ön ilyen klinikai vizsgálatban vesz részt, és kezelését illetően további információra van szüksége, vegye fel a kapcsolatot kezelőorvosával.