

Londyn, dnia 20 listopada 2008 r.
Nr ref. dokumentu: EMEA/611497/2008

Pytania i odpowiedzi dotyczące wycofania wniosku o dopuszczenie do obrotu preparatu Vekacia

Nieopatentowana nazwa międzynarodowa: *cyklosporyna*

W dniu 14 listopada 2008 r. firma Novagali Pharma S.A. oficjalnie powiadomiła Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) o zamiarze wycofania wniosku o dopuszczenie do obrotu preparatu Vekacia, przeznaczonego do leczenia wiosennego zapalenia rogówki i spojówki. Preparat Vekacia został oznaczony jako sierocy produkt leczniczy w dniu 6 kwietnia 2006 r.

Co to jest Vekacia?

Vekacia jest lekiem zawierającym cyklosporynę. Preparat miał być dostępny w postaci kropli do oczu.

W jakim celu miał być stosowany preparat Vekacia?

Preparat Vekacia miał być stosowany w leczeniu wiosennego zapalenia rogówki i spojówki. Jest to zapalenie spojówki (błona wyścielająca powiekę) oraz rogówki (przezroczysta zewnętrzna warstwa znajdująca się przed źrenicą) o podłożu uczuleniowym. Wiosenne zapalenie rogówki i spojówki jest długotrwałym schorzeniem dotykającym głównie chłopców w ciepłym, suchym klimacie, np. w krajach śródziemnomorskich. „Wiosenne” oznacza, że do zachorowania dochodzi głównie wiosną. Choroba może prowadzić do utraty wzroku.

Jakie jest oczekiwane działanie preparatu Vekacia?

Substancja czynna preparatu Vekacia, cyklosporyna, to lek immunosupresyjny. Oznacza to, że wpływa on na aktywność układu odpornościowego (naturalny system obronny organizmu). Cyklosporynę stosuje się od połowy lat 80. XX w. w zapobieganiu odrzucaniu przeszczepów (gdy system odpornościowy atakuje przeszczepiony organ). U pacjentów z wiosennym zapaleniem rogówki i spojówki cyklosporyna, podawana w postaci kropli do oka, miała zapobiegać miejscowym reakcjom wywołującym zapalenie rogówki i spojówki.

Jaka dokumentacja została przedstawiona przez firmę na poparcie wniosku złożonego do CHMP?

Cyklosporynę stosuje się od wielu lat, zatem wnioskodawca przedstawił dane z modeli eksperymentalnych pochodzące z literatury naukowej.

By potwierdzić zasadność stosowania preparatu Vekacia w wiosennym zapaleniu rogówki i spojówki, firma przedstawiła wyniki badania u 118 dzieci (powyżej 4. roku życia) i nastolatków. Pacjentom podawano preparat Vekacia w stężeniu 0,05% (0,5 mg cyklosporyny na mililitr) lub 0,1% (1 mg/ml), lub też placebo (leczenie obojętne). W tym przypadku była to „substancja nośna” (te same krople do oczu, lecz niezawierające cyklosporyny). Wybraną główną miarą skuteczności była zmiana w objawach choroby po czterech tygodniach, mierzona przez lekarza. Analizowane objawy obejmowały: palenie, swędzenie, ból, klejenie się powiek, poczucie obecności obcego ciała w oku lub światłowstręt (nadwrażliwość oczu na światło).

Na jakim etapie znajdowała się ocena w momencie wycofania wniosku?

Wniosek został wycofany przez firmę w 175. dniu postępowania. Po dokonaniu przez CHMP oceny odpowiedzi firmy na listę pytań, pewne kwestie wciąż pozostawały nierozwiązane.

Ocena nowego wniosku zajmuje CHMP zwykle do 210 dni. Na podstawie przeglądu wstępnej dokumentacji w 120. dniu CHMP przygotowuje listę pytań, które są wysyłane do firmy. Po dostarczeniu przez firmę odpowiedzi na te pytania CHMP dokonuje ich oceny i przed wydaniem opinii może zażądać w 180. dniu odpowiedzi na pozostałe pytania. Po wydaniu opinii przez CHMP Komisja Europejska potrzebuje około dwóch miesięcy na wydanie pozwolenia na dopuszczenie do obrotu.

Jakie zalecenie wydał wówczas CHMP?

Na podstawie przeglądu danych i odpowiedzi firmy na pytania CHMP, w momencie wycofania pojawiły się obawy ze strony CHMP i wstępna opinia wskazywała, że preparat Vekacia nie zostanie zatwierdzony do leczenia wiosennego zapalenia rogówki i spojówki.

Jakie były główne zastrzeżenia CHMP?

CHMP wyraził zastrzeżenia, że nie wykazano skuteczności preparatu Vekacia w porównaniu do substancji nośnej. Obawy Komitetu dotyczyły sposobu opracowania badania pod względem wyboru leczonych pacjentów, sposobu pomiaru objawów i analizy wyników badania. Komitet zwrócił także uwagę, że nie zbadano długoterminowej skuteczności leku.

Dlatego też według CHMP w momencie wycofania nie wykazano w wystarczającym stopniu korzyści związanych ze stosowaniem preparatu Vekacia i nie przeważały one nad rozpoznany ryzykiem.

Jakie przyczyny wycofania wniosku podała firma?

Pismo od firmy powiadamiające EMEA o wycofaniu wniosku znajduje się [tutaj](#).

Jakie są skutki wycofania wniosku dla pacjentów uczestniczących w badaniach klinicznych lub „programach współczucia” z użyciem preparatu Vekacia?

Firma powiadomiła CHMP, że nie prowadzi obecnie w Europie żadnych badań klinicznych ani „programów współczucia” z zastosowaniem preparatu Vekacia.