



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

23 czerwca 2017 r.  
EMA/CHMP/380586/2017  
EMA/H/C/0004330

## Pytania i odpowiedzi

---

# Wycofanie wniosku o dopuszczenie do obrotu dotyczącego produktu Elmisol (lewamizol)

W dniu 29 maja 2017 r. firma ACE Pharmaceuticals BV powiadomiła Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) o zamiarze wycofania wniosku o dopuszczenie do obrotu produktu Elmisol, który miał być stosowany w leczeniu zespołu nerczycowego.

## Co to jest Elmisol?

Elmisol jest lekiem, zawierającym substancję czynną chlorowodorek lewamizolu. Lek miał być dostępny w postaci tabletek (5, 10, 25 i 50 mg).

## W jakim celu miał być stosowany produkt Elmisol?

Elmisol miał być stosowany u dzieci w wieku od 2 lat w leczeniu zespołu nerczycowego. Zespół nerczycowy to choroba nerek cechująca się obecnością znacznych ilości białka w moczu, powodującego gromadzenie się płynu w organizmie, skutkujące obrzękiem, wysokim ciśnieniem tętniczym i przyrostem masy ciała. Elmisol miał być stosowany u pacjentów, u których objawy nawracały po reakcji na początkowe leczenie kortykosteroidami (steroidowrażliwy zespół nerczycowy).

W dniu 28 października 2005 r. lek Elmisol uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach) w leczeniu zespołu nerczycowego. Więcej informacji na temat uznania za lek sierocy można znaleźć [tutaj](#).

## Jak działa produkt Elmisol?

Lewamizol jest stosowany od wielu lat w leczeniu różnych schorzeń, w tym robaczyc i nowotworów. Sposób działania lewamizolu w przypadku zespołu nerczycowego nie jest w pełni poznany, ale wiadomo, że wpływa on na układ odpornościowy (naturalne siły obronne organizmu). Uważa się, że u



pacjentów z zespołem nerczycowym układ odpornościowy błędnie atakuje nerki, powodując wypłukiwanie białek z nerek do moczu.

W wyniku hamowania układu odpornościowego lekami kortykosteroidowymi można uzyskać kontrolę nad chorobą, leki te mają jednak znaczące działania niepożądane i wpływają na rozwój u młodych pacjentów. Uważa się, że lewamizol modyfikuje działanie układu odpornościowego, pomagając kontrolować chorobę i w konsekwencji zmniejszając ilość kortykosteroidów wymaganą przez pacjenta.

### **Jaką dokumentację przedstawiła firma na poparcie wniosku?**

Firma przedstawiła wyniki badań dotyczących jakości, bezpieczeństwa stosowania i skuteczności leku, w tym informacje z literatury. W badaniu głównym porównywano lewamizol z placebo (leczeniem pozorowanym) u dzieci z zespołem nerczycowym, u których uzyskano kontrolę choroby przy zastosowaniu kortykosteroidów. W badaniu analizowano zdolność leku do zapobiegania nawrotowi choroby.

### **Na jakim etapie znajdowała się ocena w momencie wycofania wniosku?**

Wniosek wycofano po przeprowadzeniu przez CHMP oceny dokumentacji wstępnej przedłożonej przez firmę i sformułowaniu listy pytań. Firma wycofała wniosek jeszcze przed udzieleniem odpowiedzi na pytania.

### **Jakie zalecenia wydał wówczas CHMP?**

W momencie wycofania wniosku CHMP zgłosił pewne zastrzeżenia na podstawie przeglądu danych i wstępna opinia wskazywała, że produkt Elmisol nie może być zatwierdzony w leczeniu zespołu nerczycowego. Obawy Komitetu budziły pewne aspekty sposobu przeprowadzenia badania głównego i kwestia ich zgodności z wymaganiami dobrej praktyki klinicznej (GCP). Inne obawy dotyczyły ewentualnych błędów dawkowania z uwagi na możliwość pomylenia różnych mocy tabletek, sposobu badania stabilności substancji czynnej w tabletkach oraz nieodpowiednich informacji na temat działań leku, jego dystrybucji w organizmie i ryzyka interakcji z innymi lekami.

Dlatego też w momencie wycofania wniosku zdaniem CHMP korzyści ze stosowania produktu Elmisol w proponowanym wskazaniu nie przewyższały ryzyka.

### **Jakie przyczyny wycofania wniosku podała firma?**

W swoim piśmie powiadamiającym Agencję o wycofaniu wniosku firma oświadczyła, że wycofała wniosek z powodu obaw co do badania głównego, które uniemożliwiałyby jego wykorzystanie na poparcie wniosku.

Pismo powiadamiające o wycofaniu wniosku jest dostępne [tutaj](#).

### **Jakie są skutki wycofania dla pacjentów uczestniczących w badaniach klinicznych?**

Firma powiadomiła CHMP, że nie ma żadnych skutków dla pacjentów obecnie biorących udział w badaniach klinicznych z użyciem produktu Elmisol.

W przypadku uczestnictwa w badaniach klinicznych i potrzeby uzyskania dokładniejszych informacji o leczeniu, należy skontaktować się z lekarzem prowadzącym.

