



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

17 Noiembrie 2011
EMA/888548/2011
EMA/H/C/002200

Întrebări și răspunsuri

Retragerea cererii de autorizare de introducere pe piață pentru Kalbitor (ecallantidă)

La data de 11 noiembrie 2011, Dyax s.a. a informat oficial Comitetul pentru medicamente de uz uman (CHMP) că dorește să își retragă cererea de autorizare de introducere pe piață pentru Kalbitor, destinat tratamentului simptomelor din atacurile acute de angioedem ereditar.

Ce este Kalbitor?

Kalbitor este un medicament care conține substanța activă ecallantidă. Urma să fie pus la dispoziție ca soluție injectabilă.

Pentru ce ar fi trebuit să se utilizeze Kalbitor?

Kalbitor ar fi trebuit să se utilizeze pentru a trata simptomele de atac de angioedem ereditar. Pacienții cu angioedem ereditar au atacuri de edem care se pot produce oriunde în corp, de exemplu pe față, membre, intestin și gât, cauzând disconfort și durere, iar uneori în cazul atacurilor la gât respirație îngreunată.

Kalbitor a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament folosit în bolile rare) pentru tratamentul angioedemului la 18 decembrie 2002.

Cum ar trebui să acționeze Kalbitor?

Substanța activă din Kalbitor, ecallantida, blochează o enzimă din sânge numită „kalikreină”.



Kalikreina este o parte dintr-o rețea complexă de proteine (cunoscută drept sistemul kalikreină-chinină) care are mai multe efecte în organism, dintre care unul duce la rezultate precum creșterea concentrației unei proteine numite bradikinină care determină dilatarea vaselor sangvine și extravazarea de lichid în țesuturile înconjurătoare. Această extravazare de lichide duce la atacurile de edem observate în angioedem. Prin blocarea acțiunilor kalikreinei, Kalbitor ar trebui să ajute la reducerea edemului și la atenuarea simptomelor asociate ale angioedemului.

Substanța denumită ecallantidă din Kalbitor este produsă printr-o metodă numită „tehnologia ADN-ului recombinant”. Aceasta înseamnă că este produsă de o celulă care a primit o genă (ADN), care face celula capabilă să o producă.

Ce documentație a prezentat compania în sprijinul cererii sale?

Efectele Kalbitor au fost testate pe modele experimentale înainte de a fi studiate pe oameni.

Firma a prezentat rezultatele a două studii principale la pacienții în vârstă de peste 10 ani care aveau angioedem ereditar. Au fost 72 de pacienți într-un studiu și 96 în celălalt. Pacienții au fost tratați fie cu Kalbitor, fie cu placebo (un preparat inactiv) în 8 ore de la atac. Celor considerați a fi la risc de blocaj al căilor respiratorii li s-au administrat tratamente suplimentare, dacă a fost cazul.

Criteriul principal de determinare a eficacității s-a bazat pe îmbunătățirea simptomelor pacienților după patru ore. Printre alte criterii a fost timpul necesar pentru remisiunea atacului.

În ce stadiu se afla evaluarea în momentul retragerii cererii?

Cererea a fost retrasă după „ziua 181”. Aceasta înseamnă că CHMP finalizase evaluarea documentației prezentate de companie și formulase o listă de întrebări. După evaluarea de către CHMP a răspunsurilor companiei la ultima rundă de întrebări, mai rămăseseră încă unele probleme nerezolvate.

Care a fost recomandarea CHMP în momentul respectiv?

Pe baza evaluării datelor și a răspunsului companiei la listele de întrebări ale CHMP, în momentul retragerii cererii, CHMP avea unele motive de îngrijorare și a emis un aviz provizoriu potrivit căruia Kalbitor nu putea fi aprobat.

CHMP a avut motive de îngrijorare cu privire la reacțiile de hipersensibilitate, care au fost observate cu o frecvență mai mare la pacienții tratați cu Kalbitor. Reacțiile de hipersensibilitate se produc atunci când sistemul imunitar al organismului reacționează împotriva unui medicament și cuprind reacții cunoscute ca reacții alergice. CHMP a avut, de asemenea, motive de îngrijorare legate de eficacitatea dozelor propuse la pacienții supraponderali.

Prin urmare, la momentul retragerii cererii, în opinia CHMP, beneficiile Kalbitor nu depășeau riscurile asociate.

Care au fost motivele invocate de companie pentru retragerea cererii?

Scrisoarea prin care compania înștiințează agenția cu privire la retragerea cererii este disponibilă la fila „All documents”.

Care sunt consecințele retragerii cererii pentru pacienții implicați în studii clinice sau în programe de uz compasional?

Firma a informat CHMP că retragerea cererii sale nu va avea consecințe pentru pacienții incluși în prezent în studii clinice.

Rezumatul avizului emis de Comitetul pentru medicamente orfane cu privire la Kalbitor este disponibil pe site-ul agenției: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.