



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

17. november 2011
EMA/888548/2011
EMA/H/C/002200

Vprašanja in odgovori

Umik vloge za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Kalbitor (ekallantid)

Družba Dyax s.a. je dne 11. novembra 2011 uradno obvestil Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP), da želi umakniti vlogo za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Kalbitor, namenjenim zdravljenju simptomov akutnih napadov prirojenega angioedema.

Kaj je zdravilo Kalbitor?

Kalbitor je zdravilo, ki vsebuje zdravilno učinkovino ekallantid. Bilo naj bi na voljo v obliki raztopine za injiciranje.

Za kaj naj bi se zdravilo Kalbitor uporabljalo?

Kalbitor naj bi se uporabljal za zdravljenje simptomov napadov prirojenega angioedema. Bolniki s prirojenim angioedemom imajo napade otekanja, ki se lahko pojavijo kjer koli v telesu, kot na primer na obrazu, v okončinah, prebavilih in grlu, kar povzroča nelagodje in bolečino, včasih ob napadih v grlu tudi težave pri dihanju.

Zdravilo Kalbitor je bilo dne 18. decembra 2002 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni) za zdravljenje angioedema.

Kako naj bi zdravilo Kalbitor delovalo?

Zdravilna učinkovina v zdravilu Kalbitor, ekallantid, v krvi blokira encim kallikrein.

Kallikrein je del zapletene mreže proteinov (znane kot sistem kallikrein-kinin), ki ima številne učinke na telo, med njimi povečano vrednost proteina, imenovanega bradikinin, ki povzroča širitev krvnih žil in uhajanje tekočine v okolno tkivo. To uhajanje tekočine povzroči otekanje, ki je vidno pri napadih angioedema. Z zaviranjem dejavnosti kallikreina se pričakuje, da bo kalbitor pomagal zmanjšati oteklino in z njo povezane simptome angioedema.



Ekallantid v zdravilu Kalbitor je proizveden z metodo, imenovano „tehnologija rekombinantne DNK“. To pomeni, da je ustvarjen s pomočjo celice, ki je prejela gen (DNK), kar celici omogoča, da ga proizvede.

Katero dokumentacijo je družba predložila v podporo svoji vlogi?

Učinki zdravila Kalbitor so bili najprej preizkušeni na poskusnih modelih, šele nato so jih proučili pri ljudeh.

Družba je predstavila izsledke dveh glavnih študij pri bolnikih, starih 10 let in več, ki so imeli prirojeni angioedem. V eni študiji je sodelovalo 72 bolnikov, v drugi pa 96. Bolniki so bili v osmih urah po napadu zdravljeni bodisi z zdravilom Kalbitor bodisi s placebom (zdravilom brez zdravilne učinkovine). Tisti bolniki, za katere je bila podana ocena tveganja za zamašitev dihalnih poti, so bili po potrebi deležni dodatnega zdravljenja.

Glavno merilo učinkovitosti je temeljilo na izboljšanju bolnikovih simptomov po štirih urah. V druga merila je bil vključen čas, ki je bil potreben, da se napad odpravi.

Kako daleč je bil postopek ocenjevanja vloge ob njenem umiku?

Vlogo so umaknili po „181. dnevu“. To pomeni, da je CHMP ocenil dokumentacijo, ki jo je predložila družba, in oblikoval seznam vprašanj. Potem ko je CHMP ocenil odgovore družbe na zadnja vprašanja z ustno razlago, so nekatera vprašanja še vedno ostala nerešena.

Kakšno je bilo takrat priporočilo CHMP?

Na podlagi pregleda podatkov in odgovorov družbe na sezname vprašanj, ki jih je zastavil CHMP, je Odbor v času umika izrazil nekatere zadržke in začasno menil, da zdravila Kalbitor ni mogoče odobriti.

CHMP je imel pomisleke glede preobčutljivostnih reakcij, ki so bile opažene pri večjem deležu bolnikov, ki so se zdravili z zdravilom Kalbitor. Preobčutljivostne reakcije se pojavijo, ko imunski sistem reagira proti zdravilu, in vključujejo reakcije, ki so v splošnem znane kot alergijske reakcije. CHMP je imel še pomisleke v zvezi z učinkovitostjo predlaganih odmerkov zdravila pri težjih bolnikih.

Zato je CHMP v času umika menil, da koristi zdravila Kalbitor ne odtehtajo z njim povezanih tveganj.

Kakšni so bili razlogi družbe za umik vloge?

Dopis, s katerim družba Agencijo obvešča o umiku vloge, je na voljo pod zavihkom „All documents“.

Kakšne so posledice umika za bolnike, ki sodelujejo v kliničnih preskušanjih ali programih sočutne uporabe zdravila?

Družba je CHMP obvestila, da umik ne bo imel nobenih posledic za bolnike, ki sodelujejo v katerih koli preskušanjih.

Povzetek mnenja Odbora za zdravila sirote za zdravilo Kalbitor je na voljo na spletni strani Agencije: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).