



Frågor och svar om återkallandet av ansökan om godkännande för försäljning för Vekacia

Internationellt generiskt namn (INN): *ciklosporin*

Den 14 november 2008 anmälde Novagali Pharma S.A. officiellt till Kommittén för humanläkemedel (CHMP) att man önskar dra tillbaka sin ansökan om godkännande för försäljning av Vekacia för behandling av vernal keratokonjunktivit. Vekacia klassificerades som säräkemedel den 6 april 2006.

Vad är Vekacia?

Vekacia är ett läkemedel som innehåller ciklosporin. Det var tänkt att finnas som ögondroppar.

Vad skulle Vekacia användas för?

Vekacia skulle användas för att behandla vernal keratokonjunktivit. Det är en inflammation i ögats bindhinna (täcker ögonlockens insidor och ögats främre del fram till hornhinnan) och hornhinna (ögats yttersta genomskinliga hinna), som orsakas av en allergi. Vernal keratokonjunktivit är en långvarig sjukdom som främst drabbar unga pojkar som bor i länder med varmt och torrt klimat, som t.ex. i Medelhavsländerna. "Vernal" betyder att man vanligen drabbas på våren. Sjukdomen kan leda till synnedsättning.

Hur är det tänkt att Vekacia ska verka?

Den aktiva substansen i Vekacia, ciklosporin, är ett immunosuppressivt medel. Det innebär att det sänker immunsystemets aktivitet (immunsystemet är kroppens naturliga försvar). Ciklosporin har använts sedan mitten av 1980-talet för att förhindra avstötning efter transplantation (när immunsystemet attackerar det transplanterade organet). Ciklosporin givet i form av ögondroppar var tänkt att dämpa de lokala immunreaktioner som utlöser inflammation i bindhinna och hornhinna hos patienter med vernal keratokonjunktivit.

Vilken dokumentation har företaget lämnat till CHMP som stöd för sin ansökan?

Ciklosporin har använts i många år och den sökande lade därför fram data om experimentmodeller från den vetenskapliga litteraturen.

Som stöd för användningen av Vekacia för behandling av vernal keratokonjunktivit lade företaget fram resultaten från en studie på 118 barn (över fyra år) och ungdomar. Patienterna behandlades med Vekacia i en koncentration på 0,05 procent (0,5 mg ciklosporin per milliliter) eller på 0,1 procent (1 mg/ml), eller med placebo (overksamma ögondroppar). I det här fallet var detta den s.k. vehikeln (samma ögondroppar förutom att de inte innehöll ciklosporin). Det viktigaste effektmåttet som valdes var förändringen i sjukdomssymtom efter fyra veckor, enligt läkarens uppskattning. De symtom som studerades var bland annat brännande känsla, klåda, smärta, klibbiga ögonlock, känsla av att ha skräp i ögat eller fotofobi (ljuskänslighet).

Hur långt hade utvärderingen kommit när ansökan drogs tillbaka?

Ansökan var på dag 175 när företaget drog tillbaka den. Vissa frågetecken kvarstod när CHMP hade bedömt företagets svar på frågorna i listan. Det tar normalt upp till 210 dagar för CHMP att utvärdera en ny ansökan. CHMP går igenom den första dokumentationen och gör en lista med frågor (dag 120) som skickas till företaget. När företaget har svarat på frågorna går CHMP igenom svaren och kan

ställa fler frågor (dag 180) innan de avger sitt yttrande. Efter CHMP:s yttrande tar det oftast omkring två månader för Europeiska kommissionen att utfärda ett godkännande för försäljning.

Vad rekommenderade CHMP vid den tidpunkten?

Efter genomgången av uppgifterna och företags svar på CHMP:s frågelista hyste CHMP vid tidpunkten för återkallandet vissa betänkligheter och ansåg preliminärt att Vekacia inte hade kunnat godkännas för behandling av vernal keratokonjunktivit.

Vilka var CHMP:s främsta betänkligheter?

CHMP befarade att Vekacias effekt inte hade visats när det jämfördes med vehikeln. Betänkligheterna gällde sättet som studien var utformad på, hur man valt ut de patienter som behandlats, hur symtomen mättes samt hur studiens resultat analyserades. Kommittén noterade också att läkemedlets effekt på lång sikt inte hade undersökts. Vid tidpunkten för återkallandet ansåg därför CHMP att fördelarna med Vekacia inte hade bevisats tillräckligt och inte var större än de identifierade riskerna.

Vilka skäl angav företaget till att dra tillbaka sin ansökan?

Företagets skrivelse till EMEA om sin önskan att dra tillbaka ansökan finns [här](#).

Vilka följder får återkallandet för patienter som deltar i kliniska prövningar/humanitära program (s.k. compassionate use-program) med Vekacia?

Företaget har informerat CHMP om att det för närvarande inte pågår några kliniska prövningar eller humanitära program med Vekacia i Europa.