



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

22 април 2022 г.
EMA/219136/2022
EMA/H/C/005433

Оттегляне на заявлението за разрешаване за употреба на Miplyffa (arimoclomol)

Orphazyme A/S оттегли заявлението си за разрешаване за употреба на Miplyffa за лечение на болестта на Niemann-Pick тип C (NPC) при пациенти на възраст 2 и повече години в комбинация с миглустат (друго лекарство за лечение на NPC).

Фирмата оттегли заявлението си на 22 март 2022 г.

Какво представлява Miplyffa и за какво е предназначен да се използва?

Miplyffa е предназначен за употреба при пациенти на възраст 2 и повече години за лечение на NPC — заболяване, което принадлежи към група наследствени нарушения, принадлежащи към по-голямото семейство метаболитни нарушения, наречени „лизозомни болести на натрупването“, при които в лизозомите (части от клетките на организма, които разграждат хранителни вещества и други материали) се натрупват мазнини поради промени в два гена, наречени *NPC1* и *NPC2*.

Miplyffa съдържа активното вещество аримокломол (arimoclomol) и е трябвало да се предлага под формата на капсули, които се приемат през устата.

Miplyffa е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки болести) на 19 ноември 2014 г. за лечение на NPC. Допълнителна информация за определянето на лекарството сирак можете да намерите на уебсайта на Агенцията: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141376.

Как действа Miplyffa?

В NPC натрупването на мастни вещества в лизозомите намалява способността им да функционират нормално и прави мембраната около лизозомите нестабилна. Активното вещество в Miplyffa, аримокломол, е предназначено да стимулира естествените механизми на клетката за справяне с увреждането, като увеличава производството на протеини, наречени топлинни шокови протеини, в клетките, които са под стрес. Счита се, че тези протеини спомагат за стабилизиране на протеина, произвеждан от гена *NPC1*, и мембраната около лизозомите, като по този начин подобряват способността на лизозомите да функционират и да разграждат определени мазнини. Очаква се това да предотврати натрупването на мазнини в лизозомите и да помогне за



намаляване на симптомите на заболяването, които включват поведенчески проблеми, интелектуална недостатъчност и трудности при движение и говор.

Какво е представила фирмата в подкрепа на своето заявление?

Фирмата предостави резултати от едно основно проучване, в което се разглежда ефективността на Miplyffa за забавяне на прогресията на заболяването с течение на времето. Резултатите се основават на 50 пациенти на възраст между 2 и 18 години, които получават Miplyffa или плацебо (сляпо лечение) в продължение на една година в допълнение към рутинните клинични грижи на пациента (включително миглустат, когато е приложимо). Ефективността е измерена чрез използване на стандартна скала (5-domain NPCCSS), записваща тежестта на симптомите във времето.

Фирмата е представила също данни от програма за ранен достъп (EAP), в която Miplyffa се прилага със или без миглустат.

На какъв етап от оценката е заявлението към момента на оттеглянето?

Заявлението е оттеглено, след като Европейската агенция по лекарствата е оценила информацията, представена от фирмата, и е изготвила въпроси към фирмата. След като Агенцията е оценила отговорите на фирмата на последната група въпроси, все още остават някои неразрешени проблеми.

Какви са препоръките на Агенцията към момента на оттеглянето?

Въз основа на прегледа на наличната информация, към момента на оттеглянето Агенцията има известни забележки и изразява предварителното становище, че Miplyffa не може да бъде разрешен за лечение на NPC.

Агенцията счита, че резултатите от проучването не показват в достатъчна степен, че Miplyffa е ефективен за подобряване на симптомите, свързани с NPC, или за забавяне на прогресията на заболяването, нито в краткосрочен, нито дългосрочен план (след една година и повече). По-специално Агенцията има забележки относно начина, по който се предлага да се тълкуват резултатите от проучването. Ползите от добавянето на Miplyffa към миглустат също не са потвърдени.

Поради това към момента на оттеглянето Агенцията не е в състояние да достигне до положително заключение относно ефективността на Miplyffa за лечение на NPC и становището ѝ е, че ползите от Miplyffa за тази употреба не превишават рисковете.

Какви причини посочва фирмата за оттегляне на заявлението?

В [писмото](#), с което фирмата уведомява Агенцията за оттеглянето на заявлението, се посочва, че тя е оттеглила заявлението си вследствие на забележките на EMA и прогнозата ѝ, че същите не могат да бъдат решени в съществуващите срокове.

Какви са последствията от отказа за пациентите, участващи в клинични изпитвания?

Фирмата е уведомила Агенцията, че няма последствия за пациентите, включени понастоящем в клинични изпитвания, използващи Miplyffa.

Ако участвате в клинично изпитване и се нуждаете от повече информация за вашето лечение, говорете с лекаря, провеждащ клиничното изпитване.