



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

18 септември 2020 г.
EMA/529871/2020
EMA/H/C/5004

Оттегляне на заявлението за разрешаване за употреба на Upkanz (deferiprone)

Apotex B.V. оттегли заявлението си за разрешаване за употреба на Upkanz за лечение на пантотенат киназа-асоциирана невродегенерация.

Фирмата оттегли заявлението си на 10 август 2020 г.

Какво представлява Upkanz и за какво се очаква да се използва?

Upkanz е разработен като лекарство за лечение на пантотенат киназа-асоциирана невродегенерация (PKAN), рядко наследствено заболяване, което причинява нарастващо увреждане на мозъка и може да доведе до състояния като дистония (неконтролирано движение на мускулите), паркинсонизъм и деменция. Първите признаци на заболяването се развиват в детството.

Upkanz съдържа активното вещество deferiprone (деферипрон) и трябваше да се предлага под формата на течност за перорален прием.

Upkanz е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, което се използва при редки болести) на 27 юни 2018 г. за лечение на невродегенерация с натрупване на желязо в мозъка. Допълнителна информация за определянето на лекарството сирак можете да намерите на уебсайта на Агенцията: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3182034.

Как действа Upkanz?

При пациенти с PKAN се наблюдава натрупване на желязо в части на мозъка, включително в тези, които участват в контрола на движенията. Излишното количество желязо води до увреждане. Деферипрон, активната съставка в Upkanz, е хелатор на желязото, което означава, че се свързва с желязото в организма. Това пречи на желязото да предизвиква увреждане и позволява то да бъде изхвърлено от организма, основно чрез урината. Очакваше се деферипрон да навлезе в мозъка и да помогне за предотвратяване на натрупването на желязо в мозъчните клетки и по този начин да намали мозъчните увреждания.



Какво е представила фирмата в подкрепа на своето заявление?

Фирмата е представила резултати от основно проучване, обхващащо 89 пациенти на възраст над 4 години с РКАН. Проучването сравнява промените в тежестта на дистонията при пациентите, получаващи Upkanz, с пациенти, получаващи плацебо (сляпо лечение).

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. Към момента на оттеглянето фирмата все още не е отговорила на последната група въпроси.

Какви са препоръките на Агенцията към момента на оттеглянето?

Въз основа на прегледа на данните и отговорите на фирмата по въпросите на Агенцията, към момента на оттеглянето Агенцията има известни опасения и изразява предварителното становище, че Upkanz не може да бъде одобрен за лечение на РКАН. По-конкретно Агенцията е загрижена, че основното проучване не е показало ясно, че лекарството е ефективно.

Поради това към момента на оттеглянето становището на Агенцията е, че тъй като ефективността не е доказана, ползите от Upkanz 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 след прехвърляне на лекарството на друга фирма се извършва повторна оценка на неговото разработване и пускане на пазара.

Какви са последствията от оттеглянето за пациентите, участващи в клинични изпитвания или програми с милосърдна цел?

Фирмата е уведомила Агенцията, че няма последствия за пациентите, включени в клинични изпитвания или програми с милосърдна цел с Upkanz.