



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

18. září 2020
EMA/529872/2020
EMA/H/C/5004

Stažení žádosti o vydání rozhodnutí o registraci přípravku Upkanz (deferipron)

Společnost Apotex B.V. stáhla svou žádost o vydání rozhodnutí o registraci přípravku Upkanz určeného k léčbě neurodegenerace spojené s pantothenákinázou.

Společnost svou žádost stáhla dne 10. srpna 2020.

Co je přípravek Upkanz a k čemu měl být používán?

Přípravek Upkanz byl vyvinut jako léčivý přípravek k léčbě neurodegenerace spojené s pantothenákinázou, což je vzácné dědičné onemocnění, které vede k postupně se zhoršujícímu poškození mozku a může vyústit v onemocnění, jako jsou dystonie (nekontrolované pohyby svalů), parkinsonismus a demence. První známky onemocnění se objevují v dětství.

Přípravek Upkanz obsahuje léčivou látku deferipron a měl být dostupný ve formě tekutiny k podávání ústy.

Přípravek Upkanz byl označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“ dne 27. června 2018. Přípravek měl být určen k léčbě neurodegenerace s ukládáním železa v mozku. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3182034.

Jak přípravek Upkanz působí?

U pacientů s neurodegenerací spojenou s pantothenákinázou dochází k hromadění železa v některých částech mozku, včetně těch, které se podílejí na kontrole pohybu. Toto nadměrné množství železa vede k jejich poškození. Deferipron, léčivá složka v přípravku Upkanz, je chelátor železa, což znamená, že se váže na železo v těle. Brání tak tomu, aby železo způsobovalo poškození, a umožňuje jeho odstranění z těla, zejména močí. Očekávalo se, že deferipron pronikne do mozku a pomůže zabránit hromadění železa v mozkových buňkách, čímž zmírní poškození mozku.



Jakou dokumentaci předložila společnost na podporu své žádosti?

Společnost předložila výsledky hlavní studie zahrnující 89 pacientů ve věku od 4 let s neurodegenerací spojenou s pantothénákinázou. Studie porovnávala změny v závažnosti dystonie u pacientů užívajících přípravek Upkanz s výsledky u pacientů, kteří užívali placebo (neúčinný přípravek).

V jaké fázi bylo posuzování žádosti v době, kdy byla stažena?

Žádost byla stažena poté, co Evropská agentura pro léčivé přípravky posoudila informace předložené společností a vypracovala otázky pro společnost. V době stažení žádosti nebyla poslední sada otázek společností zodpovězena.

Jaké bylo doporučení agentury v dané době?

Na základě vyhodnocení dostupných údajů a odpovědí společnosti na otázky agentury měla agentura v době stažení žádosti určité pochybnosti a její prozatímní stanovisko bylo, že přípravek Upkanz nemůže být schválen k léčbě neurodegenerace spojené s pantothénákinázou. Agentura byla znepokojena zejména tím, že hlavní studie jasně neprokázala účinnost přípravku.

Agentura proto v době stažení žádosti zastávala názor, že účinnost přípravku Upkanz nebyla dostatečným způsobem prokázána a že přínosy tohoto přípravku nepřevyšují jeho rizika.

Jaké důvody stažení žádosti uvedla společnost?

Společnost ve svém [dopise](#), v němž uvědomuje agenturu o stažení žádosti, uvedla, že po převedení léčivého přípravku k jiné společnosti byl znovu posouzen jeho vývoj a uvedení na trh.

Jaké jsou důsledky stažení žádosti pro pacienty zařazené do klinických studií nebo do programů, v nichž je přípravek Upkanz podáván v rámci léčby z humanitních důvodů (na základě principu tzv. compassionate use)?

Společnost informovala agenturu, že stažení žádosti nemá žádné důsledky pro pacienty, kteří jsou zařazeni do klinických studií nebo do programů, v nichž je přípravek Upkanz podáván v rámci léčby z humanitních důvodů.