



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

24. března 2017
EMA/192276/2017
EMA/H/C/004193

Otázky a odpovědi

Stažení žádosti o vydání rozhodnutí o registraci přípravku Enpaxiq (pacritinib)

Dne 20. února 2017 společnost CTI BioPharma oficiálně oznámila Výboru pro humánní léčivé přípravky (CHMP), že se rozhodla stáhnout svou žádost o vydání rozhodnutí o registraci přípravku Enpaxiq určeného k léčbě pacientů se zvětšenou slezinou nebo s jinými příznaky myelofibrózy.

Co je Enpaxiq?

Enpaxiq je léčivý přípravek, který obsahuje léčivou látku pacritinib. Měl být k dispozici ve formě tobolek určených k užití ústy.

K čemu měl být přípravek Enpaxiq používán?

Přípravek Enpaxiq se měl používat k léčbě pacientů se zvětšenou slezinou nebo s jinými příznaky myelofibrózy – onemocnění, při kterém dochází k hromadění jizevnaté tkáně v kostní dřeni, kde dochází k tvorbě krevních buněk.

Přípravek Enpaxiq byl označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“ dne 25. srpna 2010. Přípravek měl být určen k léčbě různých druhů myelofibrózy. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete [zde](#).

Jak přípravek Enpaxiq působí?

Léčivá látka v přípravku Enpaxiq, pacritinib, blokuje účinek JAK2 a FLT3, což jsou dvě bílkoviny, které se podílejí na tvorbě a růstu krevních buněk. Pacienti s myelofibrózou mají nadměrné množství těchto bílkovin, což vyvolává tvorbu nezralých krevních buněk, z nichž některé migrují do orgánů jako slezina, což způsobuje jejich zvětšení. Předpokládá se, že zablokováním těchto bílkovin přípravek Enpaxiq zpomalí tvorbu nezralých krevních buněk, a tím pomůže zmírnit příznaky onemocnění.



Jakou dokumentaci předložila společnost na podporu své žádosti?

Společnost předložila údaje z hlavní studie zahrnující 327 pacientů s myelofibrózou, která zkoumala počet pacientů, u nichž došlo po 24 týdnech léčby ke zmenšení sleziny alespoň o 35 %. Studie porovnávala přípravek Enpaxiq s „nejlepší dostupnou léčbou“, která zahrnovala typy léčby, které nepůsobí na bílkoviny JAK, jako je hydroxymočovina nebo podpůrná léčba.

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

Žádost byla stažena poté, co výbor CHMP posoudil výchozí dokumentaci předloženou společností a vypracoval seznam otázek. V době stažení žádosti nebyly tyto otázky společností ještě zodpovězeny.

Jaké bylo doporučení výboru CHMP v dané době?

V době stažení žádosti zastával výbor CHMP prozatímní stanovisko, že přípravek Enpaxiq nemůže být schválen k léčbě myelofibrózy.

Výbor měl celou řadu pochybností: míra zmenšení sleziny, jež byla hlavním měřítkem účinnosti ve studii, se ukázala být nižší při podávání přípravku Enpaxiq než při podávání jiného přípravku ve stejné třídě, přičemž nedošlo k žádnému zlepšení skóre příznaků; u pacientů léčených přípravkem Enpaxiq byl zaznamenán vyšší výskyt nízkých hladin krevních destiček (což může způsobit krvácení); a u pacientů užívajících přípravek Enpaxiq došlo ve srovnání s pacienty, kteří užívali nejlepší dostupnou léčbu, k vyššímu počtu úmrtí včetně úmrtí v důsledku krvácení a účinků na srdce.

Výbor CHMP kromě toho poznamenal, že je zapotřebí více informací o výchozích materiálech použitých při výrobě přípravku Enpaxiq a o způsobu působení přípravku na některé cílové bílkoviny v těle.

Vzhledem k těmto pochybnostem výbor zastával názor, že přínosy přípravku Enpaxiq podle všeho nepřevyšují jeho rizika.

Jaké důvody stažení žádosti uvedla společnost?

Společnost ve svém dopise, v němž uvědomuje agenturu o stažení žádosti, uvedla, že svou žádost stahuje proto, že v rámci současného postupu podání žádosti neměla k dispozici dostatek času k předložení nových údajů z druhé hlavní studie přípravku Enpaxiq. Společnost uvedla, že předtím, než se obrátí na agenturu EMA ohledně projednání nové žádosti o registraci, má v úmyslu zařadit do své současné dokumentace nové údaje z uvedené studie. Tento dopis je k dispozici [zde](#).

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

Společnost informovala výbor CHMP, že stažení žádosti nemá žádné důsledky pro pacienty, kteří jsou v současné době zařazení do klinických studií nebo do programů, v nichž je přípravek Enpaxiq podáván v rámci léčby z humanitních důvodů (na základě principu tzv. compassionate use).

Pokud jste zařazení do klinické studie nebo do programu, v němž je přípravek Enpaxiq podáván v rámci léčby z humanitních důvodů, a potřebujete získat více informací o své léčbě, obraťte se na lékaře, který vám přípravek podává.