



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

27. března 2026  
EMA/70818/2026  
EMA/H/C/006475

## Stažení žádosti o vydání rozhodnutí o registraci přípravku Blarcamesine Anavex (blarkamesin)

Společnost Anavex Germany GmbH stáhla svou žádost o vydání rozhodnutí o registraci přípravku Blarcamesine Anavex určeného k léčbě Alzheimerovy choroby a demence (kognitivní poruchy).

Společnost svou žádost stáhla dne 25. března 2026.

Evropská agentura pro léčivé přípravky doporučila zamítnout registraci v prosinci 2025. Společnost poté požádala o přezkoumání stanoviska agentury, svou žádost však stáhla ještě před jeho ukončením.

### Co je přípravek Blarcamesine Anavex a k čemu měl být používán?

Přípravek Blarcamesine Anavex byl vyvinut jako léčivý přípravek k léčbě dospělých s Alzheimerovou chorobou a demencí.

Během hodnocení společnost navrhla omezit indikaci na dospělé s Alzheimerovou chorobou v časném stadiu s mírnou kognitivní poruchou způsobenou Alzheimerovou chorobou nebo s mírnou demencí v časném stadiu způsobenou Alzheimerovou chorobou u osob, které nevykazují mutaci (změnu) v genu zvaném *SIGMAR1*. *SIGMAR1* je gen, který vydává pokyny k tvorbě bílkoviny receptor sigma-1, která se podílí na buněčných procesech přispívajících ke zdraví a přežití nervových buněk. Tento léčivý přípravek měl být používán jako doplněk k jiným léčebným postupům.

Přípravek Blarcamesine Anavex obsahuje léčivou látku blarkamesin a měl být dostupný ve formě tobolek určených k podání ústy.

### Jak přípravek Blarcamesine Anavex působí?

U osob s Alzheimerovou chorobou v časném stadiu je kognitivní porucha způsobena ztrátou nervových buněk v mozku. Léčivá látka v přípravku Blarcamesine Anavex, blarkamesin, aktivuje bílkovinu receptor sigma-1. Předpokládá se, že aktivací bílkoviny receptor sigma-1 přípravek Blarcamesine Anavex pomůže nervovým buňkám správně fungovat a bude je chránit před poškozením v důsledku zánětu. Očekávalo se, že se tak zpomalí ztráta kognitivní funkce.

**Official address** Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

**Address for visits and deliveries** Refer to [www.ema.europa.eu/how-to-find-us](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



## **Jakou dokumentaci předložila společnost na podporu své žádosti?**

Společnost předložila výsledky hlavní studie, do které bylo zařazeno 462 dospělých ve věku od 60 do 85 let s Alzheimerovou chorobou v časném stadiu. Pacientům v této studii byl podáván buď přípravek Blarcamesine Anavex, nebo placebo (neúčinný přípravek). Hlavními měřítky účinnosti byly kognitivní funkce a schopnost vykonávat každodenní činnosti po dobu 48 týdnů. Kognitivní funkce byla měřena pomocí stupnice ADAS-Cog13 (Alzheimer's Disease Assessment Scale-Cognitive Subscale) a schopnost vykonávat každodenní činnosti byla měřena metodou ADCS-ADL (Alzheimer's Disease Cooperative Study – Activities of Daily Living Scale). Společnost dále předložila výsledky analýz údajů podskupiny pacientů z hlavní studie, konkrétně dospělých s Alzheimerovou chorobou v časném stadiu, kteří nevykazovali mutaci v genu SIGMAR1.

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

Počáteční hodnocení bylo dokončeno dne 11. prosince 2025 a Evropská agentura pro léčivé přípravky doporučila registraci zamítnout. Společnost poté požádala o přezkoumání stanoviska agentury, svou žádost však stáhla ještě před jeho ukončením.

## **Jaké bylo doporučení agentury v dané době?**

V době počátečního hodnocení agentura dospěla k závěru, že hlavní studie neprokázala účinnost a bezpečnost přípravku Blarcamesine Anavex u pacientů s Alzheimerovou chorobou v časném stadiu, kteří nevykazují mutaci v genu *SIGMAR1*.

Hlavní studie nesplnila svůj hlavní cíl, kterým bylo prokázat menší pokles obou hlavních měřítek účinnosti v porovnání s placebem. Kromě toho analýza vykazovala metodické problémy, které vzbuzovaly obavy ohledně platnosti výsledků. Vzhledem k neúspěchu hlavní studie a metodickým problémům a na základě analýzy údajů pro podskupinu pacientů bez mutací v genu *SIGMAR1* nebylo možné prokázat účinnost léčivého přípravku.

Pokud jde o bezpečnost, omezení databáze týkající se bezpečnosti a způsob shromažďování údajů o bezpečnosti neumožnily dostatečně charakterizovat bezpečnostní profil přípravku Blarcamesine Anavex. Agentura konstatovala, že vysoký podíl pacientů v průběhu hlavní studie léčbu ukončil, a to zejména z důvodu nežádoucích účinků souvisejících s centrálním nervovým systémem, které vyvolaly obavy týkající se toho, jak dobře je léčivý přípravek snášen.

Pokud jde o kvalitu, agentura dospěla k závěru, že na základě poskytnutých informací nelze vyloučit tvorbu nitrosaminových nečistot (nečistot, které by mohly potenciálně způsobit nádorové onemocnění).

Agentura při vyvozování závěrů o účinnosti a bezpečnosti přípravku Blarcamesine Anavex uznala nenaplněnou léčebnou potřebu v oblasti léčby Alzheimerovy choroby a vzala v úvahu názory pacientů a zdravotnických pracovníků, kteří sdíleli své potřeby a zkušenosti týkající se života s tímto onemocněním nebo léčby tohoto onemocnění.

Přestože společnost požádala o podmíněnou registraci přípravku, přípravek nesplňoval kritéria pro udělení tohoto typu registrace. Agentura proto doporučila podmíněnou registraci zamítnout.

## **Jaké důvody stažení žádosti uvedla společnost?**

Společnost ve svém [dopise](#), v němž uvědomuje agenturu o stažení žádosti, uvedla, že žádost stahuje na základě zpětné vazby získané od Výboru pro humánní léčivé přípravky (CHMP) agentury, z níž

vyplývá, že na základě poskytnutých údajů nelze dospět k závěru, že přínosy léčivého přípravku převyšují jeho rizika.

**Jaké jsou důsledky stažení žádosti pro pacienty zařazené do klinických studií nebo do programů, v nichž je přípravek Blarcamesine Anavex 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 Blarcamesine Anavex podáván v rámci léčby z humanitních důvodů.

Pokud jste zařazeni do klinické studie nebo do programu, v němž je přípravek Blarcamesine Anavex podáván v rámci léčby z humanitních důvodů, a potřebujete získat více informací o své léčbě, obraťte se na svého lékaře v rámci klinické studie.