



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

18. september 2020
EMA/529873/2020
EMA/H/C/5004

Tilbagetrækning af ansøgningen om markedsføringstilladelse for Upkanz (deferipron)

Apotex B.V. tilbagetrak sin ansøgning for en markedsføringstilladelse af Upkanz til behandling af pantothenatkinase-associeret neurodegeneration.

Virksomheden trak ansøgningen tilbage den 10. august 2020.

Hvad er Upkanz, og hvad forventedes det anvendt til?

Upkanz blev udviklet som et lægemiddel til behandling af pantothenatkinase-associeret neurodegeneration (PKAN), som er en sjælden arvelig lidelse, der forårsager tiltagende skade på hjernen og kan føre til lidelser som dystoni (ukontrolleret muskelbevægelse), parkinsonisme og demens. De første sygdomstegn udvikles i barndommen.

Upkanz indeholder det aktive stof deferipron og skulle markedsføres som en væske til indtagelse gennem munden.

Upkanz blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 27. juni 2018 til behandling af neurodegeneration med ophobning af jern i hjernen. Yderligere oplysninger om lægemidler til sjældne sygdomme findes på agenturets websted under: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3182034.

Hvordan virker Upkanz?

Hos patienter med PKAN sker der en ophobning af jern i dele af hjernen, herunder de områder, der styrer bevægelse. Denne overskydende mængde jern forårsager skade. Deferipron, det aktive stof i Upkanz, er et jernchelater, hvilket betyder, at det binder sig til jern i kroppen. Dette forhindrer jernet i at forårsage skade og muliggør, at det fjernes fra kroppen, hovedsageligt gennem urinen. Det var forventet, at deferipron skulle trænge ind i hjernen og hjælpe med at forebygge ophobning af jern i hjernecellerne, og således reducere hjerneskade.



Hvilken dokumentation fremlagde virksomheden i forbindelse med ansøgningen?

Virksomheden præsenterede resultater fra et hovedstudie, der omfattede 89 PKAN-patienter i alderen 4 år og derover. I studiet sammenlignedes ændringer i sværhedsgraden af dystoni hos patienter, der modtog Upkanz, med ændringerne hos patienter, der modtog placebo (en uvirksom behandling).

Hvor langt var vurderingen af ansøgningen nået, da den blev trukket tilbage?

Ansøgningen blev trukket tilbage, efter at Det Europæiske Lægemiddelagentur havde vurderet den dokumentation, som virksomheden havde fremlagt, og udarbejdet spørgsmål til virksomheden. Virksomheden havde endnu ikke svaret på den sidste spørgsmålsrunde, da ansøgningen blev trukket tilbage.

Hvad anbefalede agenturet på daværende tidspunkt?

På baggrund af gennemgangen af dataene og virksomhedens svar på agenturets spørgsmål på tidspunktet for tilbagetrækningen af ansøgningen havde agenturet visse betænkeligheder og var af den foreløbige opfattelse, at Upkanz ikke kunne være blevet godkendt til behandling af PKAN. Agenturet var især bekymret over, at hovedstudiet ikke klart havde påvist, at lægemidlet var effektivt.

Derfor var agenturet på tidspunktet for tilbagetrækningen af den opfattelse, at fordelene ved Upkanz ikke opvejede risiciene, da den effektive virkning ikke var blevet påvist.

Hvilke begrundelser gav virksomheden for tilbagetrækningen af ansøgningen?

I sit [brev](#) til agenturet om tilbagetrækningen af ansøgningen, anførte virksomheden, at udviklingen og markedsføringen af lægemidlet var under revurdering som følge af dets overdragelse til en anden virksomhed.

Hvilke konsekvenser har tilbagetrækningen for patienter, der deltager i kliniske studier eller i programmer for anvendelse med særlig udleveringstilladelse?

Virksomheden informerede agenturet om, at der ikke er nogen konsekvenser for patienter, der deltager i kliniske studier med Upkanz eller i programmer for anvendelse af Upkanz med særlig udleveringstilladelse.