

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

## Spørgsmål og svar

---

# Tilbagetrækning af ansøgningen om markedsføringstilladelse for Enpaxiq (pacritinib)

Den 20. februar 2017 meddelte CTI BioPharma officielt Udvalget for Lægemidler til Mennesker (CHMP), at virksomheden ønsker at trække sin ansøgning tilbage om markedsføringstilladelse for Enpaxiq til behandling af patienter med forstørret milt eller andre symptomer på myelofibrose.

## Hvad er Enpaxiq?

Enpaxiq er et lægemiddel, der indeholder det aktive stof pacritinib. Det skulle have været leveret som kapsler, der tages gennem munden.

## Hvad forventedes Enpaxiq anvendt til?

Enpaxiq forventedes anvendt til behandling af patienter med forstørret milt eller andre symptomer på myelofibrose – en sygdom, hvor der ophobes arvæv i knoglemarven, hvor blodcellerne dannes.

Enpaxiq blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 25. august 2010 mod forskellige former for myelofibrose. Yderligere oplysninger om udpegelsen til lægemiddel til sjældne sygdomme findes [her](#).

## Hvordan virker Enpaxiq?

Det aktive stof i Enpaxiq, pacritinib, blokerer virkningen af de to proteiner JAK2 og FLT3, der medvirker ved blodcellernes dannelse og vækst. Ved myelofibrose har patienterne for meget af disse proteiner, hvilket medfører dannelse af umodne blodceller, hvoraf nogle vandrer til organer såsom milten, som derved bliver forstørret. Ved at blokere disse proteiner forventes Enpaxiq at bremse dannelsen af umodne blodceller og derved medvirke til at nedsætte symptomerne på sygdommen.

## **Hvilken dokumentation fremlagde virksomheden i forbindelse med ansøgningen til CHMP?**

Virksomheden fremlagde data fra en hovedundersøgelse hos 327 patienter med myelofibrose, hvor det blev registreret, hvor mange patienter der fik reduceret miltstørrelsen med mindst 35 % efter 24 ugers behandling. I undersøgelsen blev Enpaxiq sammenlignet med "bedste tilgængelige behandling", som bestod i behandlinger, der ikke virker på JAK-proteiner, såsom hydroxyurea eller støttende behandling.

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

Ansøgningen blev trukket tilbage, efter at CHMP havde vurderet den dokumentation, som virksomheden oprindeligt havde fremlagt, og udarbejdet en liste med spørgsmål. Virksomheden havde endnu ikke besvaret spørgsmålene, da ansøgningen blev trukket tilbage.

## **Hvad anbefalede CHMP på daværende tidspunkt?**

CHMP var på tidspunktet for tilbagetrækningen af den foreløbige opfattelse, at Enpaxiq ikke kunne være blevet godkendt mod myelofibrose.

Udvalget havde visse betænkeligheder: Reduktionen i miltens størrelse, der var det vigtigste mål for virkningen i undersøgelsen, syntes at være mindre med Enpaxiq end med et andet lægemiddel i samme klasse, uden at der var bedring i symptomscore; forekomsten af for lavt antal blodplader (som kan medføre blødning) var højere hos de patienter, der blev behandlet med Enpaxiq; der var også et større antal dødsfald blandt patienter, der fik Enpaxiq, end blandt dem, der fik bedste tilgængelige behandling, herunder dødsfald pga. blødning og virkninger på hjertet.

Desuden bemærkede CHMP, at der behøvedes flere oplysninger om udgangsmaterialerne til fremstilling af Enpaxiq og om, hvordan Enpaxiq virker på visse målproteiner i kroppen

På baggrund af disse betænkeligheder var udvalget af den opfattelse, at det ikke var påvist, at fordelene ved Enpaxiq opvejer risiciene.

## **Hvilke begrundelser gav virksomheden for tilbagetrækningen af ansøgningen?**

I sit brev til agenturet anførte virksomheden, at den trak ansøgningen tilbage, fordi den aktuelle ansøgningsprocedure ikke gav tilstrækkelig tid til at tilvejebringe nye data fra endnu en hovedundersøgelse med Enpaxiq. Virksomheden bemærkede, at den vil integrere de nye data fra undersøgelsen i sin nuværende dokumentation, før den kontakter EMA for at drøfte en ny ansøgning. Brevet om tilbagetrækningen kan ses [her](#).

## **Hvilke konsekvenser har tilbagetrækningen for patienter, der deltager i kliniske undersøgelser med Enpaxiq eller i programmer for anvendelse af Enpaxiq med særlig udleveringstilladelse?**

Virksomheden har til CHMP oplyst, at der ikke er nogen konsekvenser for patienter, som i øjeblikket deltager i kliniske undersøgelser med Enpaxiq eller i programmer for anvendelse af Enpaxiq med særlig udleveringstilladelse.

Hvis du deltager i en klinisk undersøgelse eller i et program for anvendelse med særlig udleveringstilladelse og har behov for yderligere oplysninger om din behandling, kan du kontakte den læge, der giver dig behandlingen.