



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

16. december 2022
EMA/913652/2022
EMA/H/C/005869

Tilbagetrækning af ansøgningen om markedsføringstilladelse for Imbarkyd (bardoxolon)

Reata Ireland Limited har tilbagetrukket sin ansøgning om markedsføringstilladelse for Imbarkyd til behandling af kronisk nyresygdom forårsaget af Alports syndrom hos voksne og børn i alderen 12 år og derover.

Virksomheden trak ansøgningen tilbage den 9. november 2022.

Hvad er Imbarkyd, og hvad forventedes det anvendt til?

Imbarkyd blev udviklet som et lægemiddel mod kronisk nyresygdom forårsaget af Alports syndrom. Det var beregnet til voksne og børn i alderen 12 år og derover.

Imbarkyd indeholder det aktive stof bardoxolon og skulle have været markedsført som kapsler til indtagelse gennem munden.

Imbarkyd blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 25. maj 2018 til behandling af kronisk nyresygdom forårsaget af Alports syndrom. Yderligere oplysninger om lægemidler til sjældne sygdomme findes på agenturets websted under: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3182019.

Hvordan virker Imbarkyd?

Bardoxolonmethyl, det aktive stof i Imbarkyd, aktiverer transskriptionsfaktoren Nrf2, et protein, som regulerer visse gener, der medvirker til betændelse. Nrf2-aktiviteten ændres ofte hos patienter med kronisk nyresygdom forårsaget af Alports syndrom. Imbarkyd forventedes derfor at genoprette nyrefunktionen og lindre patienternes symptomer.

Hvilken dokumentation fremlagde virksomheden i forbindelse med ansøgningen?

Virksomheden fremlagde resultater fra et hovedstudie med 157 patienter med let til moderat kronisk nyresygdom forårsaget af Alports syndrom. Studiet så på den estimerede glomerulære

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

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

An agency of the European Union



filtrationshastighed, som er et mål for, hvor godt nyrerne fungerer. Behandlingen med Imbarkyd blev sammenlignet med 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. Efter at agenturet havde vurderet virksomhedens svar på den sidste spørgsmålsrunde, var der fortsat visse uafklarede punkter.

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 Imbarkyd ikke kunne være blevet godkendt til behandling af kronisk nyresygdom forårsaget af Alports syndrom.

Det fremgik ikke klart af de data, som ansøgeren havde fremlagt, hvordan bardoxolon nedbrydes i kroppen, og om lægemidlets slutprodukter kunne påvirke patienternes helbred. Studiet påviste ikke i overbevisende grad, at bardoxolon havde en vedvarende gavnlig virkning på nyrefunktionen hos patienter med Alports syndrom, og der var betænkeligheder ved de potentielle negative virkninger på nyre- og hjertefunktionen.

Derfor var agenturet på tidspunktet for tilbagetrækningen af den opfattelse, at fordelene ved Imbarkyd ikke opvejede risiciene.

Hvilke begrundelser gav virksomheden for tilbagetrækningen af ansøgningen?

I sit [brev](#) til agenturet om tilbagetrækningen af ansøgningen anførte virksomheden, at den trak sin ansøgning tilbage, fordi agenturet fandt, at de fremlagte data ikke på nuværende tidspunkt gør det muligt at fastslå et positivt benefit/risk-forhold.

Har denne tilbagetrækning konsekvenser for patienter, der deltager i kliniske forsøg?

Virksomheden har til agenturet oplyst, at der ikke er nogen konsekvenser for patienter, der deltager i kliniske forsøg med Imbarkyd.

Hvis du deltager i et klinisk forsøg og har behov for yderligere oplysninger om din behandling, kan du kontakte den læge, der behandler dig.