

18. September 2020
EMA/529874/2020
EMEA/H/C/5004

Rücknahme des Antrags auf Genehmigung für das Inverkehrbringen für Upkanz (Deferipron)

Apotex B.V. nahm seinen Antrag auf Genehmigung für das Inverkehrbringen von Upkanz zur Behandlung von Pantothenatkinase-assozierter Neurodegeneration zurück.

Das Unternehmen nahm den Antrag am 10. August 2020 zurück.

Was ist Upkanz und wofür sollte es angewendet werden?

Upkanz wurde als Arzneimittel zur Behandlung von Pantothenatkinase-assozierter Neurodegeneration (PKAN) entwickelt. Hierbei handelt es sich um eine seltene Krankheit, die zu einer zunehmenden Schädigung des Gehirns führt und Erkrankungen, wie etwa Dystonie (unkontrollierte Muskelbewegungen), Parkinsonismus und Demenz, zur Folge haben kann. Die ersten Zeichen der Erkrankung entstehen in der Kindheit.

Upkanz enthält den Wirkstoff Deferipron und sollte als Flüssigkeit zum Einnehmen erhältlich sein.

Upkanz wurde am 27. Juni 2018 als „Orphan-Arzneimittel“ (Arzneimittel für seltene Leiden) zur Behandlung von Neurodegeneration mit Eisenablagerung im Gehirn ausgewiesen. Weitere Informationen zu der Ausweisung als Arzneimittel für seltene Leiden finden Sie hier: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3182034.

Wie wirkt Upkanz?

Bei Patienten mit PKAN kommt es zur Ablagerung von Eisen in Teilen des Gehirns, einschließlich jener, die an der Bewegungskontrolle beteiligt sind. Dieser Überschuss an Eisen führt zu Schädigungen. Deferipron, der Wirkstoff von Upkanz, ist ein Eisen-Chelator, d. h., es bindet an Eisen im Körper. Dadurch wird verhindert, dass das Eisen zu Schädigungen führt, und seine Ausscheidung aus dem Körper, vor allem über den Urin, ermöglicht. Man erwartete, dass Deferipron ins Gehirn gelangen und helfen würde, eine Ablagerung von Eisen in den Gehirnzellen zu verhindern und somit die Schädigung des Gehirns zu vermindern.



Welche Unterlagen hat das Unternehmen zur Stützung seines Antrags vorgelegt?

Das Unternehmen legte die Ergebnisse einer Hauptstudie unter Beteiligung von 89 Patienten mit PKAN ab einem Alter von 4 Jahren vor. Die Studie verglich die Veränderungen bei der Schwere der Dystonie bei Patienten, die Upkanz erhalten hatten, und jenen, die Placebo (eine Scheinbehandlung) erhalten hatten.

In welchem Stadium der Beurteilung befand sich der Antrag zum Zeitpunkt der Rücknahme?

Der Antrag wurde zurückgenommen, nachdem die Europäische Arzneimittel-Agentur die von dem Unternehmen eingereichten Unterlagen ausgewertet und eine Liste von Fragen formuliert hatte. Das Unternehmen hatte zum Zeitpunkt der Rücknahme die zuletzt gestellten Fragen noch nicht beantwortet.

Wie lautete die Empfehlung der Agentur zu diesem Zeitpunkt?

Aufgrund der geprüften Daten und der Antwort des Unternehmens auf die Fragen der Agentur bestanden seitens der Agentur zum Zeitpunkt der Rücknahme gewisse Bedenken. Diese war der vorläufigen Ansicht, dass Upkanz für die Behandlung von PKAN nicht hätte zugelassen werden können. Insbesondere war die Agentur darüber besorgt, dass die Hauptstudie nicht deutlich gezeigt hatte, dass das Arzneimittel wirksam ist.

Zum Zeitpunkt der Rücknahme war die Agentur daher der Ansicht, dass der Nutzen von Upkanz gegenüber den Risiken nicht überwiegt, weil die Wirksamkeit nicht nachgewiesen worden ist.

Aus welchen Gründen hat das Unternehmen den Antrag zurückgenommen?

In dem [Schreiben](#), in dem das Unternehmen die Agentur über die Rücknahme des Antrags informiert, erklärte es, dass die Entwicklung und Vermarktung nach dem Transfer des Arzneimittels zu einem anderen Unternehmen neu beurteilt wurden.

Hat die Rücknahme Konsequenzen für Patienten, die derzeit an klinischen Studien bzw. „Compassionate-Use“-Programmen teilnehmen?

Das Unternehmen teilte der Agentur mit, dass sich keine Konsequenzen für Patienten ergeben, die an klinischen Studien oder „Compassionate-Use“-Programmen mit Upkanz teilnehmen.