

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

Fragen und Antworten

Rücknahme des Antrags auf Genehmigung für das Inverkehrbringen für Enpaxiq (Pacritinib)

Am 20. Februar 2017 teilte CTI BioPharma dem Ausschuss für Humanarzneimittel (CHMP) offiziell mit, dass das Unternehmen seinen Antrag auf Genehmigung für das Inverkehrbringen von Enpaxiq für die Behandlung von Patienten mit vergrößerter Milz oder anderen Symptomen von Myelofibrose zurücknimmt.

Was ist Enpaxiq?

Enpaxiq ist ein Arzneimittel, das den Wirkstoff Pacritinib enthält. Es sollte in Form von Kapseln zum Einnehmen erhältlich sein.

Wofür sollte Enpaxiq angewendet werden?

Enpaxiq sollte zur Behandlung von Patienten mit vergrößerter Milz oder anderen Symptomen von Myelofibrose angewendet werden. Es handelt sich hierbei um eine Erkrankung, bei der sich Narbengewebe im Knochenmark, wo die Blutzellen gebildet werden, aufbaut.

Enpaxiq wurde am 25. August 2010 als „Orphan-Arzneimittel“ (Arzneimittel für seltene Leiden) gegen verschiedene Typen von Myelofibrose ausgewiesen. Weitere Informationen zu der Ausweisung als Arzneimittel für seltene Leiden finden Sie [hier](#).

Wie wirkt Enpaxiq?

Der Wirkstoff von Enpaxiq, Pacritinib, blockiert die Wirkung von JAK2 und FLT3. Es handelt sich dabei um zwei Proteine, die an der Bildung und dem Wachstum von Blutzellen beteiligt sind. Bei Myelofibrose haben die Patienten zu viel von diesen Proteinen, was zur Bildung unreifer Blutzellen führt, von denen einige in Organe wandern, wie etwa die Milz, was zu deren Vergrößerung führt. Man vermutet, dass

Enpaxiq durch das Blockieren dieser Proteine die Bildung unreifer Blutzellen verlangsamt und somit die Symptome der Erkrankung zu lindern hilft.

Welche Unterlagen hat das Unternehmen zur Stützung seines Antrags vorgelegt?

Das Unternehmen legte Daten aus einer Hauptstudie unter Beteiligung von 327 Patienten mit Myelofibrose vor. In dieser Studie wurde die Anzahl an Patienten untersucht, deren Milzgröße sich nach 24 Wochen der Behandlung um mindestens 35 % reduzierte. Die Studie verglich Enpaxiq mit der „besten verfügbaren Therapie“. Hierzu zählten Behandlungen, die nicht auf JAK-Proteine wirkten, wie etwa Hydroxyharnstoff oder unterstützende Behandlungen.

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

Der Antrag wurde zurückgenommen, nachdem der CHMP die anfänglich von dem Unternehmen eingereichten Unterlagen ausgewertet und eine Liste von Fragen formuliert hatte. Das Unternehmen hatte zum Zeitpunkt der Rücknahme die Fragen noch nicht beantwortet.

Wie lautete die Empfehlung des CHMP zu diesem Zeitpunkt?

Zum Zeitpunkt der Rücknahme war der CHMP daher der vorläufigen Ansicht, dass Enpaxiq zur Behandlung von Myelofibrose nicht hätte zugelassen werden können.

Der Ausschuss hatte eine Reihe von Bedenken: die Reduzierung der Milzgröße, der Hauptindikator für die Wirksamkeit in der Studie, schien unter Enpaxiq geringer als bei anderen Arzneimitteln seiner Klasse zu sein. Es ergaben sich keine Verbesserungen beim Symptom-Score. Die Inzidenz niedriger Blutplättchenspiegel (was zu Blutungen führen kann) war bei Patienten, die mit Enpaxiq behandelt wurden, höher. Außerdem ergab sich eine höhere Anzahl an Todesfällen unter Patienten, die Enpaxiq einnahmen, als unter jenen, die die beste verfügbare Therapie erhalten hatten, einschließlich Todesfälle aufgrund von Blutungen und Wirkungen auf das Herz.

Darüber hinaus stellte der CHMP fest, dass mehr Informationen zu den Ausgangsmaterialien, die bei der Herstellung von Enpaxiq verwendet werden, sowie zur Wirkung auf bestimmte Zielproteine im Körper erforderlich sind.

Angesichts dieser Bedenken war der Ausschuss der Meinung, dass nicht nachgewiesen wurde, dass der Nutzen von Enpaxiq gegenüber den Risiken überwiegt.

Aus welchen Gründen hat das Unternehmen den Antrag zurückgenommen?

Das Unternehmen gab in seinem Schreiben an die Agentur an, dass es den Antrag zurücknehme, da im laufenden Antragsverfahren nicht ausreichend Zeit bleibe, um neue Daten aus einer zweiten Hauptstudie zu Enpaxiq vorzulegen. Das Unternehmen teilte mit, dass es versuchen werde, die neuen Daten aus der Studie in sein aktuelles Dossier aufzunehmen, bevor es sich an die EMA wendet, um einen neuen Antrag zu erörtern. Das Rücknahmeschreiben ist [hier](#) verfügbar.

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

Das Unternehmen teilte dem CHMP mit, dass sich keine Konsequenzen für Patienten ergeben, die derzeit an klinischen Studien oder an „Compassionate-Use“-Programmen mit Enpaxiq teilnehmen.

Sollten Sie an einer klinischen Studie oder einem „Compassionate-Use“-Programm teilnehmen und weitere Informationen zu Ihrer Behandlung benötigen, wenden Sie sich bitte an Ihren behandelnden Arzt.