



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

18 Σεπτεμβρίου 2020
EMA/529875/2020
EMA/H/C/5004

Απόσυρση της αίτησης για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας στο Urkanz (δεφεριπρόνη)

Η Arotex B.V. απέσυρε την αίτησή της για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας στο Urkanz για τη θεραπεία της νευροεκφύλισης που σχετίζεται με την παντοθενική κινάση.

Η εταιρεία απέσυρε την αίτηση στις 10 Αυγούστου 2020.

Τι είναι το Urkanz και σε ποιες περιπτώσεις επρόκειτο να χρησιμοποιηθεί;

Το Urkanz αναπτύχθηκε ως φάρμακο για τη θεραπεία της σχετιζόμενης με την παντοθενική κινάση νευροεκφύλισης, μιας σπάνιας κληρονομικής νόσου που προκαλεί αυξανόμενες βλάβες στον εγκέφαλο και μπορεί να οδηγήσει σε παθήσεις όπως η δυστονία (μη ελεγχόμενη κίνηση των μυών), ο παρκινσονισμός και η άνοια. Τα πρώτα σημεία της νόσου αναπτύσσονται στην παιδική ηλικία.

Το Urkanz περιέχει τη δραστική ουσία δεφεριπρόνη και επρόκειτο να διατεθεί υπό μορφή υγρού για χορήγηση από το στόμα.

Το Urkanz χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χορηγείται σε σπάνιες ασθένειες) στις 27 Ιουνίου 2018 για τη θεραπεία της νευροεκφύλισης με συσσώρευση σιδήρου στον εγκέφαλο.

Περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τον χαρακτηρισμό ενός φαρμάκου ως ορφανού διατίθενται στον διαδικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3182034.

Πώς δρα το Urkanz;

Στους ασθενείς που πάσχουν από σχετιζόμενη με την παντοθενική κινάση νευροεκφύλιση παρατηρείται συσσώρευση σιδήρου σε διάφορες περιοχές του εγκεφάλου, μεταξύ άλλων σε περιοχές που εμπλέκονται στον έλεγχο της κίνησης. Η υπερβολική συσσώρευση σιδήρου προκαλεί βλάβες. Η δραστική ουσία του Urkanz, η δεφεριπρόνη, είναι χηλικός παράγοντας σιδήρου. Αυτό σημαίνει ότι προσκολλάται στον σίδηρο που βρίσκεται στον οργανισμό, εμποδίζοντας έτσι την πρόκληση βλαβών και επιτρέποντας την απομάκρυνσή του, κυρίως μέσω των ούρων. Η δεφεριπρόνη αναμενόταν να εισέρχεται στον εγκέφαλο και να αποτρέπει τη συσσώρευση σιδήρου στα εγκεφαλικά κύτταρα, περιορίζοντας έτσι την εγκεφαλική βλάβη.

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



Τι είδους τεκμηρίωση υπέβαλε η παρασκευάστρια εταιρεία προς στήριξη της αίτησής της;

Η παρασκευάστρια εταιρεία υπέβαλε τα αποτελέσματα μιας κύριας μελέτης στην οποία μετείχαν 89 ασθενείς ηλικίας 4 ετών και άνω με νευροεκφύλιση σχετιζόμενη με την παντοθενική κινάση. Η μελέτη σύγκρινε τις μεταβολές στη σοβαρότητα της δυστονίας σε ασθενείς που έλαβαν Urkanz και σε ασθενείς που έλαβαν εικονικό φάρμακο (εικονική θεραπεία).

Σε ποιο στάδιο της αξιολόγησης βρισκόταν η αίτηση τη στιγμή της απόσυρσης;

Η αίτηση αποσύρθηκε αφού ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων είχε ήδη αξιολογήσει τις πληροφορίες που υπέβαλε η εταιρεία και είχε καταρτίσει κατάλογο ερωτήσεων για αυτήν. Κατά τη στιγμή της απόσυρσης της αίτησης, η εταιρεία δεν είχε ακόμη απαντήσει στον τελευταίο γύρο ερωτήσεων.

Ποια ήταν η σύσταση του Οργανισμού τη στιγμή της απόσυρσης;

Βάσει της εξέτασης των υποβληθέντων στοιχείων και της απάντησης της εταιρείας στις ερωτήσεις του Οργανισμού τη στιγμή της απόσυρσης, ο Οργανισμός εξέφρασε ορισμένες ανησυχίες και διατύπωσε την προσωρινή γνώμη ότι το Urkanz δεν θα μπορούσε να εγκριθεί για τη θεραπεία της σχετιζόμενης με την παντοθενική κινάση νευροεκφύλισης. Ο Οργανισμός εξέφρασε επιφυλάξεις κυρίως ως προς το γεγονός ότι η κύρια μελέτη δεν κατέδειξε με σαφήνεια την αποτελεσματικότητα του φαρμάκου.

Ως εκ τούτου, τη στιγμή της απόσυρσης, ο Οργανισμός διατύπωσε τη γνώμη ότι, λόγω της μη αποδεδειγμένης αποτελεσματικότητας, τα οφέλη του Urkanz δεν υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό.

Ποιοι ήταν οι λόγοι απόσυρσης της αίτησης που παρέθεσε η εταιρεία;

Στην [επιστολή](#) της με την οποία κοινοποιεί στον Οργανισμό την απόσυρση της αίτησης, η εταιρεία δήλωσε ότι κατόπιν μεταφοράς του φαρμάκου σε άλλη εταιρεία, η ανάπτυξή του και η κυκλοφορία του στην αγορά θα επαναξιολογηθούν.

Επηρεάζει η απόσυρση της αίτησης τους ασθενείς που συμμετέχουν σε κλινικές δοκιμές ή προγράμματα παρηγορητικής χρήσης;

Η εταιρεία ενημέρωσε τον Οργανισμό ότι δεν υπάρχουν συνέπειες για τους ασθενείς που μετέχουν σε κλινικές δοκιμές ή προγράμματα παρηγορητικής χρήσης με το Urkanz.