



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

24 Μαρτίου 2017
EMA/192276/2017
EMA/H/C/004193

Ερωτήσεις και απαντήσεις

Απόσυρση της αίτησης για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας στο Επραχίq (πακριτινίμμη)

Στις 20 Φεβρουαρίου 2017, η εταιρεία CTI BioPharma κοινοποίησε επίσημα στην Επιτροπή Φαρμάκων για Ανθρώπινη Χρήση (CHMP) την πρόθεσή της να αποσύρει την αίτηση για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας για το Επραχίq, για τη θεραπεία ασθενών με σπληνομεγαλία ή άλλα συμπτώματα μυελοϊνώσης.

Τι είναι το Επραχίq;

Το Επραχίq είναι φάρμακο που περιέχει τη δραστική ουσία πακριτινίμμη. Επρόκειτο να διατεθεί υπό μορφή καψακίων για από του στόματος χορήγηση.

Σε ποιες περιπτώσεις επρόκειτο να χρησιμοποιηθεί το Επραχίq;

Το Επραχίq επρόκειτο να χρησιμοποιηθεί για τη θεραπεία ασθενών με σπληνομεγαλία ή άλλα συμπτώματα μυελοϊνώσης, μιας διαταραχής κατά την οποία συσσωρεύεται ουλώδης ιστός στον μυελό των οστών, όπου παράγονται τα αιμοσφαίρια.

Το Επραχίq χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χορηγείται σε σπάνιες ασθένειες) στις 25 Αυγούστου 2010, για τη θεραπεία διαφορετικών τύπων μυελοϊνώσης. Περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τον χαρακτηρισμό των ορφανών φαρμάκων διατίθενται [εδώ](#).

Πώς δρα το Επραχίq;

Η δραστική ουσία που περιέχεται στο Επραχίq, η πακριτινίμμη, αναστέλλει τη δράση των JAK2 και FLT3, δύο πρωτεϊνών που συμμετέχουν στην παραγωγή και την ανάπτυξη αιμοσφαιρίων. Στη μυελοϊνώση, οι ασθενείς εμφανίζουν υπερβολική συγκέντρωση των εν λόγω πρωτεϊνών, γεγονός που προκαλεί την παραγωγή ανώριμων αιμοσφαιρίων, εκ των οποίων κάποια μεταναστεύουν σε όργανα, όπως ο σπλήνας,



και προκαλούν τη διεύρυνσή τους. Αναστέλλοντας τη δράση των δύο αυτών πρωτεϊνών, το Enoxaparin αναμένεται να επιβραδύνει την παραγωγή ανώριμων αιμοσφαιρίων και, με αυτό τον τρόπο, να βοηθήσει στη μείωση των συμπτωμάτων της νόσου.

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

Η εταιρεία υπέβαλε τα δεδομένα από μια κύρια μελέτη που διεξήχθη σε 327 ασθενείς με μυελοϊνωση, η οποία εξέτασε τον αριθμό των ασθενών στους οποίους παρατηρήθηκε μείωση του μεγέθους του σπλήνα κατά τουλάχιστον 35% μετά από 24 εβδομάδες θεραπείας. Η μελέτη συνέκρινε το Enoxaparin με τη «βέλτιστη διαθέσιμη θεραπεία» που περιελάμβανε θεραπείες που δεν δρουν κατά των πρωτεϊνών JAK, όπως υδροξυουρία ή υποστηρικτική θεραπεία.

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

Η αίτηση αποσύρθηκε αφού η CHMP είχε αξιολογήσει την αρχική τεκμηρίωση που είχε υποβληθεί από την εταιρεία και είχε καταρτίσει κατάλογο ερωτήσεων. Κατά τη στιγμή της απόσυρσης της αίτησης, η εταιρεία δεν είχε ακόμη απαντήσει στον κατάλογο των ερωτήσεων.

Ποια ήταν η σύσταση της CHMP τη στιγμή της απόσυρσης;

Τη στιγμή της απόσυρσης, η CHMP διατύπωσε την προσωρινή γνώμη ότι το Enoxaparin δεν θα μπορούσε να έχει εγκριθεί για τη θεραπεία της μυελοϊνωσης.

Η Επιτροπή εξέφρασε μια σειρά από ανησυχίες: η μείωση του μεγέθους του σπλήνα - ο κύριος δείκτης μέτρησης της αποτελεσματικότητας στη μελέτη - φάνηκε να είναι χαμηλότερη με το Enoxaparin από ό,τι με ένα άλλο φάρμακο της κατηγορίας του, χωρίς βελτίωση στη βαθμολογία των συμπτωμάτων. Η συχνότητα εμφάνισης χαμηλών επιπέδων αιμοπεταλίων (που μπορεί να προκαλέσουν αιμορραγία) ήταν υψηλότερη σε ασθενείς που λάμβαναν θεραπεία με Enoxaparin. Παρατηρήθηκε μεγαλύτερος αριθμός θανάτων σε ασθενείς που λάμβαναν Enoxaparin σε σύγκριση με εκείνους που λάμβαναν τη βέλτιστη διαθέσιμη θεραπεία, συμπεριλαμβανομένων των θανάτων που οφείλονται σε αιμορραγία και σε επιδράσεις στην καρδιά.

Επιπλέον, η CHMP σημείωσε ότι απαιτούνται περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τις αρχικές ουσίες που χρησιμοποιούνται για την παρασκευή του Enoxaparin, καθώς και σχετικά με τον τρόπο δράσης του επί ορισμένων πρωτεϊνών-στόχων εντός του οργανισμού.

Λαμβάνοντας υπόψη αυτές τις ανησυχίες, η Επιτροπή διατύπωσε τη γνώμη ότι δεν έχει καταδειχθεί ότι τα οφέλη του Enoxaparin 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 δεν υπήρχε αρκετός χρόνος στην τρέχουσα διαδικασία αίτησης για την παροχή νέων δεδομένων από μια δεύτερη κύρια μελέτη με το Enoxaparin. Η εταιρεία δήλωσε ότι σκοπεύει να ενσωματώσει τα νέα δεδομένα από τη μελέτη στον τρέχοντα φάκελό της, προτού απευθυνθεί στον EMA για να συζητήσει τη δυνατότητα νέας αίτησης. Η επιστολή απόσυρσης διατίθεται [εδώ](#).

Ποιες είναι οι επιπτώσεις από την απόσυρση της αίτησης στους ασθενείς που συμμετέχουν σε κλινικές δοκιμές ή προγράμματα παρηγορητικής χρήσης;

Η εταιρεία ενημέρωσε την CHMP ότι δεν υπάρχουν συνέπειες για τους ασθενείς που συμμετέχουν επί του παρόντος σε κλινικές δοκιμές ή προγράμματα παρηγορητικής χρήσης με το Enxachiq.

Εάν συμμετέχετε σε κλινική δοκιμή ή πρόγραμμα παρηγορητικής χρήσης και χρειάζεστε περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη θεραπεία σας, συμβουλευθείτε τον γιατρό που σας τη χορηγεί.