



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

16 Δεκεμβρίου 2022
EMA/913652/2022
EMA/H/C/005869

Απόσυρση της αίτησης για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας στο Imbarkyd (bardoxolone)

Η Reata Ireland Limited απέσυρε την αίτησή της για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας στο Imbarkyd για τη θεραπεία της χρόνιας νεφρικής νόσου που προκαλείται από το σύνδρομο Alport σε ενήλικες και παιδιά ηλικίας 12 ετών και άνω.

Η εταιρεία απέσυρε την αίτηση στις 9 Νοεμβρίου 2022.

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

Το Imbarkyd αναπτύχθηκε ως φάρμακο για τη θεραπεία της χρόνιας νεφρικής νόσου που προκαλείται από το σύνδρομο Alport. Προοριζόταν για χρήση σε ενήλικες και παιδιά ηλικίας 12 ετών και άνω.

Το Imbarkyd περιέχει τη δραστική ουσία bardoxolone methyl και επρόκειτο να διατεθεί υπό μορφή καψακίων για από του στόματος χορήγηση.

Το Imbarkyd χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χορηγείται σε σπάνιες ασθένειες) στις 25 Μαΐου 2018 για τη θεραπεία της χρόνιας νεφρικής νόσου που προκαλείται από το σύνδρομο Alport. Περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τον χαρακτηρισμό των ορφανών φαρμάκων διατίθενται στον διαδικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3182019.

Πώς δρα το Imbarkyd;

Η bardoxolone methyl, η δραστική ουσία του Imbarkyd, ενεργοποιεί τον μεταγραφικό παράγοντα Nrf2, μια πρωτεΐνη που ρυθμίζει ορισμένα γονίδια τα οποία συμμετέχουν στη φλεγμονή. Η δραστηριότητα της Nrf2 συχνά μεταβάλλεται σε ασθενείς με χρόνια νεφρική νόσο η οποία προκαλείται από το σύνδρομο Alport. Ως εκ τούτου, το Imbarkyd αναμενόταν να αποκαταστήσει τη νεφρική λειτουργία και να ανακουφίσει τα συμπτώματα των ασθενών.

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 εταιρεία υπέβαλε τα αποτελέσματα μιας κύριας μελέτης στην οποία μετείχαν 157 ασθενείς με ήπια έως μέτρια χρόνια νεφρική νόσο η οποία προκλήθηκε από το σύνδρομο Alport. Η μελέτη εξέτασε τον εκτιμώμενο ρυθμό σπειραματικής διήθησης, έναν δείκτη που χρησιμοποιείται για να ελέγξει πόσο καλά λειτουργούν οι νεφροί. Η θεραπεία με Imbarkyd συγκρίθηκε με 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 αξιολογήσει τα στοιχεία που είχαν υποβληθεί από την εταιρεία και είχε καταρτίσει κατάλογο ερωτήσεων. Αφότου ο Οργανισμός ολοκλήρωσε την αξιολόγηση των απαντήσεων της εταιρείας στον τελευταίο γύρο ερωτήσεων, εκκρεμούσαν ακόμη ορισμένα ζητήματα.

Ποια ήταν η σύσταση του Οργανισμού τη στιγμή της απόσυρσης;

Βάσει της εξέτασης των υποβληθέντων στοιχείων και των απαντήσεων της εταιρείας στις ερωτήσεις του Οργανισμού τη στιγμή της απόσυρσης, ο Οργανισμός εξέφρασε ορισμένες ανησυχίες και διατύπωσε την προσωρινή γνώμη ότι το Imbarkyd δεν θα μπορούσε να έχει εγκριθεί για τη θεραπεία της χρόνιας νεφρικής νόσου που προκαλείται από το σύνδρομο Alport.

Από τα δεδομένα που υποβλήθηκαν από τον αιτούντα δεν κατέστη σαφής ο τρόπος διάσπασης της bardoxolone στον οργανισμό καθώς και το κατά πόσον τα τελικά προϊόντα του φαρμάκου θα μπορούσαν να επηρεάσουν την υγεία των ασθενών. Η μελέτη δεν κατέδειξε με πειστικό τρόπο μια παρατεταμένη ευεργετική επίδραση της bardoxolone στη νεφρική λειτουργία σε ασθενείς με σύνδρομο Alport, ενώ διατυπώθηκαν ανησυχίες σχετικά με πιθανές αρνητικές επιδράσεις στη νεφρική και την καρδιακή λειτουργία.

Ως εκ τούτου, τη στιγμή της απόσυρσης, ο Οργανισμός διατύπωσε τη γνώμη ότι τα οφέλη του Imbarkyd 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 απέσυρε την αίτησή της επειδή ο Οργανισμός θεωρεί ότι τα δεδομένα που υποβλήθηκαν δεν επιτρέπουν προς το παρόν την εξαγωγή συμπεράσματος σχετικά με τη θετική σχέση οφέλους-κινδύνου.

Επηρεάζει η απόσυρση της αίτησης τους ασθενείς που συμμετέχουν σε κλινικές δοκιμές;

Η εταιρεία ενημέρωσε τον Οργανισμό ότι δεν υπάρχουν συνέπειες για τους ασθενείς που συμμετέχουν σε κλινικές δοκιμές με το Imbarkyd.

Εάν συμμετέχετε σε κλινική δοκιμή και χρειάζεστε περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη θεραπεία σας, συμβουλευθείτε τον γιατρό που σας παρακολουθεί στο πλαίσιο της δοκιμής.