



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

22 kwietnia 2022 r.
EMA/222587/2022
EMA/H/C/005584

Wycofanie wniosku o dopuszczenie do obrotu dotyczącego produktu Neffy (adrenalina)

ARS Pharmaceuticals IRL, Limited wycofała swój wniosek o dopuszczenie do obrotu produktu Neffy, który miał być stosowany w leczeniu doraźnym reakcji alergicznych, w tym anafilaksji.

Firma wycofała wniosek w dniu 4 kwietnia 2022 r.

Czym jest lek Neffy i w jakim celu **miał być** stosowany?

Lek Neffy opracowano jako lek przeznaczony do stosowania donosowego (przez nos) w leczeniu doraźnym reakcji alergicznych, w tym reakcji anafilaktycznych (**gwałtowna, ciężka** reakcja alergiczna z trudnościami w oddychaniu, opuchlizną, zawrotami głowy, przyspieszonym biciem serca, potliwością i utratą przytomności).

Lek Neffy zawiera adrenalinę jako substancję czynną i miał być dostępny w postaci aerozolu do nosa.

Jak **działa** lek Neffy?

Po podaniu donosowym substancja czynna leku Neffy, adrenalina, jest wchłaniana przez błonę śluzową nosa (wilgotną wyściółkę nosa) i rozprowadzana w organizmie. Adrenalina wiąże się następnie z różnymi receptorami (celami) w organizmie, powodując złagodzenie reakcji anafilaktycznej. Wiązanie się z tymi receptorami zmniejsza rozszerzenie naczyń krwionośnych, poprawiając przepływ krwi i rozluźniając mięśnie gładkie w płucach, co ułatwia oddychanie. Adrenalina wiąże się również z receptorami na komórkach układu odpornościowego, hamując wydzielanie histaminy (substancji w organizmie wywołującej objawy alergiczne).

Jaką dokumentację przedstawiła firma na poparcie wniosku?

Ze względów etycznych i praktycznych uznano, że niemożliwe jest przeprowadzenie badań skuteczności leku Neffy u osób, u których wystąpiła ciężka reakcja alergiczna, ale dostępne są obszerne informacje na temat stosowania adrenaliny w leczeniu ciężkiej alergii i obecnie jest to standardowe leczenie anafilaksji. Firma przedstawiła zatem wyniki czterech badań klinicznych porównujących lek Neffy z produktami, w przypadku których substancję czynną wstrzyknięto. W badaniach tych analizowano farmakokinetykę (sposób wchłaniania, modyfikowania i usuwania leku z



organizmu), a także ciśnienie krwi i tętno jako wskaźniki skuteczności leku u prawie 700 zdrowych osób w wieku od 18 do 55 lat.

Na jakim etapie **znajdowała się** ocena w momencie wycofania wniosku?

Wniosek wycofano po przeprowadzeniu przez Europejską Agencję Leków oceny informacji przedłożonych przez firmę i sporządzeniu pierwszej listy pytań dla firmy. Firma wycofała wniosek jeszcze przed udzieleniem odpowiedzi na pytania.

Jakie zalecenia **wydała** wówczas Agencja?

W momencie wycofania wniosku Agencja zgłosiła zastrzeżenia na podstawie przeglądu dostępnych informacji i wstępna opinia wskazywała, że bez dodatkowych badań produkt Neffy nie może być zatwierdzony w leczeniu doraźnym reakcji alergicznych, w tym anafilaksji.

Agencja uznała, że firma nie przedstawiła wystarczających dowodów na to, że wchłanianie leku przez błonę śluzową nosa u pacjentów z ostrą anafilaksją jest porównywalne z wchłanianiem obserwowanym u zdrowych ochotników i że proponowana dawka może osiągnąć oczekiwany wynik kliniczny. Ponadto Agencja wyraziła obawy dotyczące włączenia do leku przeciwdrobnoustrojowych konserwantów i antyoksydantów i uznała, że należy zmienić jego recepturę, aby usunąć te substancje.

Dlatego też w momencie wycofania wniosku Agencja nie była w stanie wyciągnąć konkluzji dotyczących skuteczności leku Neffy w leczeniu reakcji alergicznych i wyraziła opinię, że korzyści ze stosowania leku Neffy nie przewyższają ryzyka.

Jakie przyczyny wycofania wniosku **podała** firma?

W piśmie powiadamiającym Agencję o wycofaniu wniosku firma oświadczyła, że wycofała swój wniosek w następstwie wniosku EMA o przekazanie dodatkowych informacji i danych. Firma wyraziła zamiar złożenia nowego wniosku, który będzie zawierał odpowiedzi na pytania.

Jakie **są** skutki odmowy dla pacjentów **uczestniczących** w badaniach klinicznych?

Firma powiadomiła Agencję, że nie ma żadnych skutków dla pacjentów obecnie biorących udział w badaniach klinicznych z użyciem produktu Neffy.

W przypadku uczestnictwa w badaniach klinicznych i potrzeby uzyskania dokładniejszych informacji o leczeniu należy skontaktować się z lekarzem prowadzącym badanie.