



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

1. února 2019  
EMA/38410/2019  
EMA/H/C/004487

## Stažení žádosti o vydání rozhodnutí o registraci přípravku Vynpenta (avacopan)

Dne 23. ledna 2019 společnost ChemoCentryx oficiálně oznámila Výboru pro humánní léčivé přípravky (CHMP), že se rozhodla stáhnout svou žádost o vydání rozhodnutí o podmíněné registraci přípravku Vynpenta (avacopan) určeného k léčbě cévních onemocnění granulomatózy s polyangiitidou a mikroskopické polyangiitidy.

### Co je Vynpenta?

Vynpenta je léčivý přípravek, který obsahuje léčivou látku avacopan. Měl být k dispozici ve formě tobolek určených k perorálnímu užití.

### K čemu měl být přípravek Vynpenta používán?

Přípravek Vynpenta měl být používán k léčbě zánětů krevních cév u dospělých pacientů s granulomatózou s polyangiitidou (GPA) nebo mikroskopickou polyangiitidou (MPA). Léčivý přípravek měl být podle předpokladů užíván v kombinaci s cyklofosfamidem nebo rituximabem.

Přípravek Vynpenta byl pro tato onemocnění označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“ dne 19. listopadu 2014. Další informace o těchto vzácných onemocněních naleznete zde: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141373](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141373) (granulomatóza s polyangiitidou), [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141372](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141372) (mikroskopická polyangiitida).

### Jak přípravek Vynpenta působí?

Přípravek Vynpenta blokuje receptor (cíl) krevní bílkoviny, která se nazývá C5a komplement a je součástí imunitního systému (přirozené obranyschopnosti těla).

Když se C5a komplement připojí ke svému receptoru, přitáhne a aktivuje imunitní buňky zvané neutrofilů, u nichž se předpokládá, že přispívají k zánětům malých krevních cév při granulomatóze s polyangiitidou a mikroskopické polyangiitidě. Tím, že přípravek Vynpenta receptor C5a komplementu zablokuje, mělo dojít ke zlepšení zánětu krevních cév, a tím ke zmírnění příznaků onemocnění.



## **Jakou dokumentaci předložila společnost na podporu své žádosti?**

Společnost na podporu své žádosti o vydání podmíněné registrace přípravku předložila výsledky dvou studií, kterých se celkem zúčastnilo 109 pacientů. Jedna studie přípravků Vynpenta porovnávala s běžnou léčbou včetně prednisonu (což je kortikosteroid), zatímco druhá porovnávala přípravek Vynpenta v kombinaci s prednisonem s léčbou pouze prednisonem. V obou studiích bylo hlavním měřítkem účinnosti množství pacientů, u kterých během 12 týdnů léčby došlo k alespoň 50% zmírnění příznaků zánětu krevních cév, které bylo měřeno dle skóre BVAS (Birmingham Vasculitis Activity Score).

## **V jaké fázi bylo posuzování žádosti v době, kdy byla stažena?**

Žádost byla stažena poté, co výbor CHMP posoudil dokumentaci předloženou společností a vypracoval seznamy otázek. V době stažení žádosti nebyla poslední sada otázek společností ještě zodpovězena.

## **Jaké bylo doporučení výboru CHMP v dané době?**

Na základě vyhodnocení dostupných údajů a odpovědí společnosti na seznamy otázek výboru CHMP měl výbor CHMP v době stažení žádosti určité pochybnosti a jeho prozatímní stanovisko bylo, že přípravek Vynpenta nemůže být schválen k léčbě granulomatózy s polyangiitidou a mikroskopické polyangiitidy.

Výbor CHMP shledal problémy v koncepci studií a měl pochybnosti ohledně toho, zda dostupné údaje dostatečně prokazují, že přípravek Vynpenta je v léčbě těchto onemocnění účinný. Ačkoli výsledky studií ukazovaly na částečná zlepšení skóre BVAS u více pacientů, kterým byl podáván přípravek Vynpenta, než u pacientů s běžnou léčbou, tato skutečnost nebyla považována za zcela relevantní, neboť u pacientů, u kterých dojde pouze k částečnému zlepšení příznaků, hrozí vysoké riziko recidivy onemocnění. Přípravek se nejevil jako účinnější než běžná léčba ani v jiném měřítku, totiž v počtu pacientů, kteří neměli žádné příznaky.

Pokud jde o bezpečnost, výbor konstatoval, že údaje o nežádoucích účincích přípravku Vynpenta byly velmi omezené. Kromě toho se objevily pochybnosti ohledně zvolených výchozích materiálů použitých při výrobě přípravku.

Výbor CHMP proto v době stažení žádosti zastával názor, že společnost neposkytla dostatek údajů na podporu své žádosti o registraci přípravku Vynpenta.

## **Jaké důvody stažení žádosti uvedla společnost?**

Společnost ve svém dopise, v němž uvědomuje agenturu o stažení žádosti, uvedla, že se rozhodla zaměřit své úsilí na budoucí předložení žádosti o plnohodnotné rozhodnutí o registraci, neboť brzy budou dostupné další údaje z probíhající studie, během níž je více než 300 pacientů léčeno po dobu 52 týdnů.

Tento dopis je k dispozici [zde](#).

**Jaké jsou důsledky stažení žádosti pro pacienty zařazené do klinických studií nebo do programů, v nichž je přípravek Vynpenta podáván v rámci léčby z humánních důvodů (na základě principu tzv. compassionate use)?**

Společnost informovala výbor CHMP, že stažení žádosti nemá žádný dopad na pacienty, kteří jsou v současné době zařazení do klinických studií nebo do programů, v nichž je přípravek Vynpenta podáván v rámci léčby z humánních důvodů (tzv. compassionate use).

Pokud jste zařazení do klinické studie nebo do programu, v němž je přípravek Vynpenta podáván v rámci léčby z humánních důvodů, a potřebujete získat více informací o své léčbě, obraťte se na lékaře, který vám přípravek podává.