



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Tilbagetrækning af ansøgningen om markedsføringstilladelse for Vynpenta (avacopan)

Den 23. januar 2019 meddelte ChemoCentryx officielt Udvalget for Lægemidler til Mennesker (CHMP), at virksomheden ønsker at trække sin ansøgning om betinget markedsføringstilladelse tilbage for Vynpenta (avacopan) til behandling af blodkarforstyrrelserne granulomatose med polyangiitis og mikroskopisk polyangiitis.

### Hvad er Vynpenta?

Vynpenta er et lægemiddel, der indeholder det aktive stof avacopan. Det skulle have været leveret som kapsler, der skulle tages gennem munden.

### Hvad forventedes Vynpenta anvendt til?

Vynpenta skulle have været anvendt til at kontrollere inflammationen i blodkarrene hos voksne med granulomatose med polyangiitis (GPA) eller mikroskopisk polyangiitis (MPA). Lægemidlet skulle have været anvendt i kombination med cyclophosphamid eller rituximab.

Vynpenta blev den 19. november 2014 udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" til behandling af disse tilstande. Yderligere information om lægemidler til sjældne sygdomme kan findes her: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141373](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141373) (granulomatose med polyangiitis), [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141372](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141372) (mikroskopisk polyangiitis).

### Hvordan virker Vynpenta?

Vynpenta blokerer receptoren (målet) for et protein i blodet, der kaldes komplement 5a (C5a), og som er en del af immunsystemet (kroppens naturlige forsvar).

Når C5a binder til sin receptor, vil det tiltrække og aktivere de immunceller, der kaldes neutrofiler, og som menes at bidrage til inflammationen i de små blodkar hos patienter med granulomatose med polyangiitis og mikroskopisk polyangiitis. Ved at blokere receptoren for C5a forventedes Vynpenta at reducere inflammationen i de små blodkar og dermed bedre sygdomssymptomerne.



## Hvilken dokumentation fremlagde virksomheden til støtte for sin ansøgning?

Til støtte for sin ansøgning om betinget markedsføringstilladelse fremlagde virksomheden resultaterne fra to studier af i alt 109 patienter. Et af studierne sammenlignede Vynpenta med standardbehandling, hvori bl.a. prednison (et kortikosteroid) indgik, mens det andet studie sammenlignede Vynpenta+prednison med prednison. I begge studier var det primære mål for virkning andelen af patienter, der i løbet af 12 ugers behandling oplevede en reduktion i symptomer relateret til inflammation i blodkarrene på mindst 50 % i henhold til BVAS-skalaen (Birmingham Vasculitis Activity Score).

## Hvor langt var vurderingen af ansøgningen nået, da den blev trukket tilbage?

Ansøgningen blev trukket tilbage, efter at CHMP havde vurderet den dokumentation, som virksomheden havde fremlagt, og udarbejdet lister med spørgsmål. Virksomheden havde endnu ikke svaret på den sidste spørgsmålsrunde, da ansøgningen blev trukket tilbage.

## Hvad anbefalede CHMP på daværende tidspunkt?

På baggrund af gennemgangen af dataene og virksomhedens svar på CHMP's lister med spørgsmål på tidspunktet for tilbagetrækningen af ansøgningen havde CHMP visse betænkeligheder og var af den foreløbige opfattelse, at Vynpenta ikke kunne være blevet godkendt til behandling af granulomatose med polyangiitis og mikroskopisk polyangiitis.

CHMP vurderede, at der var problemer med studiernes udformning, og satte spørgsmålstejn ved, om de tilgængelige data var tilstrækkelige til at påvise Vynpentas effektivitet til behandling af disse tilstande. Selv om studierne viste delvis bedring i henhold til BVAS-skalaen hos flere Vynpenta-behandlede patienter end standardbehandlede patienter, blev dette ikke anset for at være fuldt relevant, da patienter, der kun oplever delvis symptombedring, har høj risiko for, at sygdommen vender tilbage. Lægemidlet så ikke ud til at virke bedre end standardbehandling på en anden parameter, nemlig andelen af patienter, der ikke havde nogen symptomer.

Med hensyn til sikkerheden bemærkede udvalget, at dataene om bivirkninger ved Vynpenta var meget begrænsede. Desuden var der betænkeligheder med hensyn til valget af udgangsmaterialer til fremstilling af lægemidlet.

Derfor var CHMP på tidspunktet for tilbagetrækningen af den opfattelse, at virksomheden ikke havde fremlagt tilstrækkelige oplysninger til at underbygge ansøgningen om Vynpenta.

## Hvilke begrundelser gav virksomheden for tilbagetrækningen af ansøgningen?

I sit brev til agenturet om tilbagetrækningen af ansøgningen anførte virksomheden, at den havde besluttet at fokusere sin indsats på den kommende ansøgning om fuld markedsføringstilladelse, da yderligere data fra et igangværende studie med over 300 patienter, der fik behandling i 52 uger, snart ville blive tilgængelige.

Brevet om tilbagetrækningen kan ses [her](#).

## **Hvilke konsekvenser har tilbagetrækningen for patienter, der deltager i kliniske studier eller i programmer for anvendelse med særlig udleveringstilladelse?**

Virksomheden har til CHMP oplyst, at denne tilbagetrækning ikke vil få konsekvenser for kliniske studier af Vynpenta eller programmer for anvendelse af Vynpenta med særlig udleveringstilladelse.

Hvis du deltager i et klinisk studie eller i et program for anvendelse med særlig udleveringstilladelse og har behov for yderligere oplysninger om din behandling, kan du kontakte den læge, der behandler dig.