



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2019. gada 1. februāris
EMA/38410/2019
EMA/H/C/004487

Vynpenta (avakopāna) reģistrācijas apliecības pieteikuma atsaukšana

Uzņēmums ChemoCentryx 2019. gada 23. janvārī oficiāli informēja Cilvēkiem paredzēto zāļu komiteju (Committee for Medicinal Products for Human Use – CHMP) par savu lēmumu atsaukt Vynpenta (avakopāna) reģistrācijas apliecības pieteikumu. Šīs zāles izmanto asinsvadu slimību granulomatozes ar poliangiītu un mikroskopiskā poliangiīta ārstēšanai.

Kas ir Vynpenta?

Vynpenta ir zāles, kas satur aktīvo vielu avakopānu. Tām bija jābūt pieejamām iekšķīgi lietojamu kapsulu veidā.

Kādam nolūkam bija paredzēts lietot Vynpenta?

Vynpenta bija paredzēts lietot, lai kontrolētu asinsvadu iekaisumu pieaugušajiem, kuri slimo ar granulomatozi ar poliangiītu (GPA) vai mikroskopisko poliangiītu (MPA). Zāles bija paredzēts lietot kombinācijā ar ciklofosfamīdu vai rituksimabu.

2014. gada 19. novembrī Vynpenta apstiprināja kā zāles retu slimību ārstēšanai, lai ārstētu šīs slimības. Sīkāka informācija par retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu statusa piešķiršanu ir atrodama: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141373 (granulomatoze ar poliangiītu), ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141372 (mikroskopiskais poliangiīts).

Kā Vynpenta darbojas?

Vynpenta bloķē proteīna receptoru (mērķi) asinīs, ko sauc par komplementu 5a, kas ir daļa no imūnsistēmas (organisma dabiskās aizsardzības).

Kad C5a piesaistās savam receptoram, tas piesaista un aktivizē imūnās šūnas, ko sauc par neitrofiliem, kas, domājams, veicina mazo asinsvadu iekaisumu granulomatozes ar poliangiītu un mikroskopiskā poliangiīta gadījumā. Bija paredzēts, ka Vynpenta mazinās asinsvadu iekaisumu, bloķējot C5a receptoru, tādējādi uzlabojot slimības simptomus.



Kādus dokumentus uzņēmums iesniedza pieteikuma pamatošanai?

Lai pamatotu pieteikumu reģistrācijas apliecības ar nosacījumiem saņemšanai, uzņēmums iesniedza divu pētījumu rezultātus, kuros piedalījās 109 pacienti. Vienā no pētījumiem Vynpenta tika salīdzināta ar standarta terapiju, ieskaitot prednizonu (kortikosteroīdu), bet otrā tika salīdzināta Vynpenta un prednizona kombinācija ar prednizonu. Abos pētījumos galvenais iedarbīguma rādītājs bija to pacientu īpatsvars, kuriem 12 ārstēšanas nedēļu laikā vismaz par 50 % samazinājās asinsvadu iekaisuma simptomi, mērot, izmantojot Birmingemas vaskulīta aktivitātes rādītāju (Birmingham Vasculitis Activity Score – BVAS).

Kurā pieteikuma vērtēšanas posmā pieteikumu atsauca?

Pieteikumu atsauca, kad CHMP bija izvērtējusi uzņēmuma iesniegtos dokumentus un sagatavojsi jautājumu sarakstu. Atsaukšanas brīdī uzņēmums nebija sniedzis atbildes uz pēdējā posma jautājumiem.

Kāds bija CHMP ieteikums tajā laikā?

Pamatojoties uz izskatītajiem datiem un uzņēmuma atbildēm uz CHMP jautājumiem, atsaukšanas brīdī CHMP bija izteikusi bažas un bija sagatavojsi iepriekšēju slēdzienu par to, ka Vynpenta nevarētu tikt apstiprinātas granulomatozes ar poliangiītu un mikroskopiskā poliangiīta ārstēšanai.

CHMP konstatēja problēmas ar pētījumu plānu un puda bažas, ka pieejamie dati nav pietiekami, lai pierādītu, ka Vynpenta ir iedarbīgas zāles šo slimību ārstēšanā. Lai gan pētījumos tika novēroti daļēji BVAS uzlabojumi lielākam skaitam pacientu, kuri tika ārstēti ar Vynpenta, nekā standarta terapijas gadījumā, tas netika uzskatīts par pilnībā atbilstošu rādītāju, jo pacientiem, kuriem simptomi uzlabojās tikai daļēji, pastāv augsts risks, ka slimība varētu atgriezties. Bija pazīmes, ka zāles nedarbojās labāk kā standarta terapija citā rādītājā – to pacientu īpatsvars, kuriem nebija nekādu simptomu.

Attiecībā uz drošumu Komiteja atzīmēja, ka dati par Vynpenta blakusparādībām ir ļoti ierobežoti. Turklāt bija bažas par to, kādas izejvielas tika izmantotas zāļu izgatavošanai.

Tāpēc atsaukšanas brīdī CHMP uzskatīja, ka uzņēmums nav iesniedzis pietiekami daudz datu Vynpenta pieteikuma pamatošanai.

Kā uzņēmums pamatoja pieteikuma atsaukšanu?

Savā vēstulē, kurā Aģentūra tika informēta par pieteikuma atsaukšanu, uzņēmums paziņoja, ka tas ir nolēmis koncentrēt savus centienus uz pilnas reģistrācijas apliecības pieteikuma iesniegšanu, ņemot vērā to, ka drīz būs pieejami plašāki dati no šobrīd notiekoša pētījuma, kurā vairāk nekā 300 pacientu saņem 52 nedēļu ilgu ārstēšanu.

Atsaukšanas vēstule ir pieejama [šeit](#).

Kādas sekas šis atsaukums radīs pacientiem, kuri piedalās klīniskajos pētījumos un līdzcietīgas zāļu lietošanas programmās?

Uzņēmums informēja CHMP, ka šis atsaukums neietekmēs šobrīd notiekošos klīniskos pētījumus vai Vynpenta līdzcietīgas lietošanas programmas.

Ja Jūs pašreiz piedalāties klīniskajā pētījumā vai līdzcietīgas zāļu lietošanas programmā un vēlaties saņemt plašāku informāciju par terapiju, jautāiet ārstam, kas Jums to izraksta.