



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

1 februari 2019
EMA/38410/2019
EMA/H/C/004487

Intrekking van de aanvraag van een vergunning voor het in de handel brengen van Vynpenta (avacopan)

Op 23 januari 2019 heeft ChemoCentryx het Comité voor geneesmiddelen voor menselijk gebruik (CHMP) officieel op de hoogte gebracht van haar beslissing haar aanvraag van een vergunning voor het in de handel brengen van Vynpenta (avacopan) in te trekken. Vynpenta (avacopan) was bedoeld voor de behandeling van de bloedvataandoeningen granulomatose met polyangiïtis en microscopische polyangiïtis.

Wat is Vynpenta?

Vynpenta is een geneesmiddel dat de werkzame stof avacopan bevat. Het zou verkrijgbaar zijn in de vorm van capsules voor inname via de mond.

Voor welke behandeling was Vynpenta bedoeld?

Vynpenta zou worden gebruikt voor de behandeling van de ontsteking van bloedvaten bij volwassenen met granulomatose met polyangiïtis (GPA) of microscopische polyangiïtis (MPA). Het geneesmiddel zou worden gebruikt in combinatie met cyclofosfamide of rituximab.

Vynpenta werd op 19 november 2014 voor deze aandoeningen aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame ziekten). Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel vindt u hier: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141373 (granulomatose met polyangiïtis), ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141372 (microscopische polyangiïtis).

Hoe werkt Vynpenta?

Vynpenta blokkeert de receptor (het doelwit) voor een eiwit in het bloed aangeduid als complement 5a, dat deel uitmaakt van het immuunsysteem (de natuurlijke afweer van het lichaam).

Wanneer C5a zich aan zijn receptor hecht, worden immuuncellen, neutrofielen, aangetrokken en geactiveerd. Men vermoedt dat neutrofielen bij granulomatose met polyangiïtis en microscopische polyangiïtis bijdragen aan de ontsteking van kleine bloedvaten. Door de receptor voor C5a te blokkeren



zou Vynpenta de ontsteking van bloedvaten verminderen, waardoor de symptomen van de ziekte zouden afnemen.

Welke documentatie heeft de firma ingediend als ondersteuning van de aanvraag?

Ter ondersteuning van de aanvraag voor een voorwaardelijke handelsvergunning presenteerde de firma de resultaten van twee onderzoeken met in totaal 109 patiënten. In een van de onderzoeken werd Vynpenta vergeleken met standaardbehandeling, waaronder prednison (een corticosteroïde), terwijl in het andere onderzoek Vynpenta plus prednison met prednison werd vergeleken. In beide onderzoeken was de voornaamste graadmeter voor de werkzaamheid het percentage patiënten met ten minste 50% minder symptomen van ontsteking van bloedvaten gedurende 12 weken behandeling, zoals gemeten aan de hand van de Birmingham Vasculitis Activity Score (BVAS).

In welke beoordelingsfase werd de aanvraag ingetrokken?

De firma trok de aanvraag in nadat het CHMP de door haar verstrekte documentatie had bestudeerd en lijsten met vragen had opgesteld. De laatste reeks vragen waren op het moment van de intrekking nog niet beantwoord door de firma.

Wat was de aanbeveling van het CHMP op dat moment?

Op basis van de bestudering van de gegevens en het antwoord van de firma op de vragenlijsten van het CHMP, had het Comité op het ogenblik van de intrekking enkele bedenkingen en was het de voorlopige mening toegedaan dat Vynpenta voor de behandeling van granulomatose met polyangiïtis en microscopische polyangiïtis niet kon worden goedgekeurd.

Het CHMP stelde vast dat er problemen waren met de opzet van de onderzoeken en was bezorgd dat de beschikbare gegevens niet voldoende waren om aan te tonen dat Vynpenta werkzaam is bij de behandeling van deze aandoeningen. Hoewel de onderzoeken erop duiden dat bij de behandeling met Vynpenta bij meer patiënten gedeeltelijke verbeteringen van de BVAS optraden dan bij de standaardbehandeling, werd dit niet volledig relevant geacht omdat bij patiënten bij wie slechts een gedeeltelijke verbetering van de symptomen optreedt, het risico groot is dat de ziekte terugkomt. Volgens een andere graadmeter, het percentage patiënten zonder symptomen, leek het geneesmiddel niet beter te werken dan de standaardbehandeling.

Wat de veiligheid betreft, merkte het CHMP op dat de gegevens over de bijwerkingen van Vynpenta zeer beperkt zijn. Daarnaast was er bezorgdheid over de keuze van het uitgangsmateriaal dat voor de vervaardiging van het geneesmiddel werd gebruikt.

Daarom was het CHMP op het ogenblik van de intrekking van mening dat de firma onvoldoende informatie had overgelegd ter ondersteuning van de aanvraag voor Vynpenta.

Welke redenen gaf de firma voor het intrekken van de aanvraag?

In de brief waarin de firma het Geneesmiddelenbureau op de hoogte brengt van de intrekking van de aanvraag, stelde de firma dat zij had besloten haar inspanningen te richten op de toekomstige indiening van een volledige aanvraag voor een vergunning voor het in de handel brengen, aangezien spoedig verdere gegevens beschikbaar zouden zijn van een lopend onderzoek bij meer dan 300 patiënten die 52 weken lang worden behandeld.

De intrekkingbrief is [hier](#) te vinden.

Welke gevolgen heeft de intrekking voor patiënten die deelnemen aan klinische proeven of het geneesmiddel met speciale toestemming krijgen toegediend?

De firma deelde het CHMP mee dat deze intrekking geen gevolgen heeft voor patiënten die momenteel deelnemen aan klinische proeven met Vynpenta, noch voor patiënten die het geneesmiddel met speciale toestemming krijgen toegediend.

Indien u deelneemt aan een klinische proef of het geneesmiddel met speciale toestemming krijgt en meer informatie wenst over uw behandeling, neemt u dan contact op met uw behandelend arts.