



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

1 lutego 2019 r.
EMA/38410/2019
EMA/H/C/004487

Wycofanie wniosku o dopuszczenie do obrotu dotyczącego produktu Vynpenta (awakopan)

W dniu 23 stycznia 2019 r. firma ChemoCentryx powiadomiła Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) o zamiarze wycofania wniosku o dopuszczenie do obrotu produktu Vynpenta (awakopan), który miał być stosowany w leczeniu chorób naczyń krwionośnych: ziarniniakowatości z zapaleniem naczyń i mikroskopowego zapalenia naczyń.

Co to jest Vynpenta?

Vynpenta to lek zawierający substancję czynną awakopan. Lek miał być dostępny w postaci kapsułek przeznaczonych do przyjmowania doustnego.

W jakim celu miał być stosowany produkt Vynpenta?

Lek Vynpenta miał być stosowany w leczeniu stanu zapalnego naczyń krwionośnych u osób dorosłych chorujących na ziarniniakowatość z zapaleniem naczyń (ang. granulomatosis with polyangiitis, GPA) lub mikroskopowe zapalenie naczyń (ang. microscopic polyangiitis, MPA). Oczekiwano, że lek będzie stosowany w połączeniu z cyklofosfamidem lub rytuksymabem.

W dniu 19 listopada 2014 r. lek Vynpenta uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach) w leczeniu tych chorób. Więcej informacji na temat oznaczenia leku jako sierocy można znaleźć tutaj: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141373 (ziarniniakowatość z zapaleniem naczyń), ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141372 (mikroskopowe zapalenie naczyń).

Jak działa produkt Vynpenta?

Lek Vynpenta blokuje receptor dla obecnego we krwi białka o nazwie białko dopełniacza 5a, będącego częścią układu odpornościowego (naturalnego systemu obrony organizmu).

Skutkiem związania się białka C5a z receptorem jest przyciąganie i aktywowanie komórek odpornościowych (neutrofilów), które, jak się uważa, przyczyniają się do rozwoju stanu zapalnego małych naczyń krwionośnych w przebiegu ziarniniakowatości z zapaleniem naczyń i mikroskopowego



zapalenia naczyń. Blokowanie receptora dla C5a przez lek Vynpenta miało zmniejszać nasilenie stanu zapalnego w obrębie naczyń krwionośnych, a wskutek tego łagodzić objawy choroby.

Jaką dokumentację przedstawiła firma na poparcie wniosku?

Na poparcie wniosku o przyznanie warunkowego pozwolenia na dopuszczenie do obrotu firma przedstawiła wyniki dwóch badań z udziałem łącznie 109 pacjentów. W jednym z badań porównywano lek Vynpenta z leczeniem standardowym obejmującym prednizon (lek z grupy kortykosteroidów), a w drugim badaniu porównywano stosowanie leku Vynpenta w połączeniu z prednizonem oraz samego prednizonu. W obu badaniach głównym kryterium oceny skuteczności był odsetek pacjentów, u których obserwowano złagodzenie objawów zapalenia naczyń o co najmniej 50% po 12 tygodniach leczenia zgodnie z oceną w skali BVAS (Birmingham Vasculitis Activity Score, skala nasilenia zapalenia naczyń z Birmingham).

Na jakim etapie znajdowała się ocena w momencie wycofania wniosku?

Wniosek wycofano po przeprowadzeniu przez CHMP oceny dokumentacji przedłożonej przez firmę i sformułowaniu list pytań. Firma wycofała wniosek przed udzieleniem odpowiedzi na ostatnią serię pytań.

Jakie zalecenia wydał wówczas CHMP?

W momencie wycofania wniosku CHMP zgłosił pewne zastrzeżenia na podstawie przeglądu danych i odpowiedzi firmy na listę pytań CHMP. Wstępna opinia CHMP stwierdzała, że produkt Vynpenta nie może być zatwierdzony w leczeniu ziarniniakowatości z zapaleniem naczyń i mikroskopowego zapalenia naczyń.

CHMP zgłosił zastrzeżenia do metodologii obu badań oraz wyraził obawę, że dostępne dane nie są wystarczające, by można było wykazać skuteczność produktu Vynpenta w leczeniu tych chorób. Chociaż z przedstawionych badań wynikało, że częściowa poprawa w skali BVAS wystąpiła u większego odsetka pacjentów przyjmujących produkt Vynpenta niż leczenie standardowe, nie uznano tego faktu za w pełni istotny, ponieważ u pacjentów z częściowym ustąpieniem objawów istnieje duże prawdopodobieństwo nawrotu choroby. Pod innym względem (odsetka pacjentów bez objawów) badany lek nie wykazywał przewagi nad leczeniem standardowym.

W odniesieniu do bezpieczeństwa stosowania produktu CHMP stwierdził, że dane na temat działań niepożądanych produktu Vynpenta były bardzo ograniczone. Istniały także zastrzeżenia dotyczące doboru substancji wyjściowych w procesie wytwarzania leku.

Dlatego też w momencie wycofania wniosku zdaniem CHMP firma nie dostarczyła wystarczającej ilości danych na poparcie wniosku dotyczącego produktu Vynpenta.

Jakie przyczyny wycofania wniosku podała firma?

W swoim piśmie powiadamiającym Agencję o wycofaniu wniosku firma oświadczyła, że podjęła decyzję o skoncentrowaniu prac nad złożeniem w przyszłości wniosku o udzielenie pełnego pozwolenia na dopuszczenie do obrotu, wobec zbliżającej się publikacji dalszych danych z trwającego obecnie badania z udziałem ponad 300 pacjentów leczonych przez 52 tygodnie.

Pismo powiadamiające o wycofaniu wniosku jest dostępne [tutaj](#).

Jakie są skutki wycofania dla pacjentów uczestniczących w badaniach klinicznych lub programach „leczenia ostatniej szansy”?

Firma poinformowała CHMP, że podjęta decyzja nie wpływa na prowadzone obecnie badania kliniczne ani programy „leczenia ostatniej szansy” z użyciem produktu Vynpenta.

W przypadku uczestnictwa w badaniach klinicznych lub programach „leczenia ostatniej szansy” i potrzeby uzyskania dokładniejszych informacji o leczeniu, należy skontaktować się z lekarzem prowadzącym.