



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Retragerea cererii de autorizare de punere pe piață pentru Vynpenta (avacopan)

La 23 ianuarie 2019, ChemoCentryx a informat oficial Comitetul pentru medicamente de uz uman (CHMP) că dorește să-și retragă cererea de autorizare de punere pe piață condiționată pentru Vynpenta (avacopan), pentru tratamentul tulburărilor vasculare granulomatoză cu poliangeită și poliangeită microscopică.

### Ce este Vynpenta?

Vynpenta este un medicament care conține substanța activă avacopan. Medicamentul urma să fie disponibil sub formă de capsule cu administrare orală.

### Pentru ce ar fi trebuit să se utilizeze Vynpenta?

Vynpenta ar fi trebuit să se utilizeze pentru a ține sub control inflamația vaselor de sânge la adulții cu granulomatoză cu poliangeită (GPA) sau cu poliangeită microscopică (MPA). Medicamentul ar fi trebuit să se utilizeze în asocieri cu ciclofosamidă sau cu rituximab.

Vynpenta a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament folosit în bolile rare) la data de 19 noiembrie 2014 pentru aceste afecțiuni. Informații suplimentare cu privire la medicamentele desemnate ca orfane pot fi găsite aici: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141373](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141373) (granulomatoză cu poliangeită), [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141372](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141372) (poliangeită microscopică).

### Cum acționează Vynpenta?

Vynpenta blochează receptorul (ținta) unei proteine din sânge numită complementul 5a, care este o parte constituantă a sistemului imunitar (mecanismul natural de apărare a organismului).

Când se leagă de receptorul său, C5a atrage și activează celulele imune numite neutrofile, despre care se crede că au un rol în inflamarea vaselor mici de sânge în cazul granulomatozei cu poliangeită și al poliangeitei microscopice. Prin blocarea receptorului C5a, Vynpenta ar fi trebuit să reducă inflamația vaselor de sânge, ameliorând astfel simptomele bolii.



## **Ce documentație a prezentat compania în sprijinul cererii sale?**

În vederea obținerii autorizației de punere pe piață condiționate, compania a prezentat rezultatele a doua studii la care au participat în total 109 pacienți. Unul dintre studii a comparat Vynpenta cu tratamentul standard, care include prednison (un corticosteroid), iar celălalt studiu a comparat Vynpenta plus prednison cu prednison. În ambele studii, principala măsură a eficacității a fost proporția de pacienți la care s-a obținut o reducere cu cel puțin 50 % a simptomelor de inflamație a vaselor de sânge pe parcursul a 12 săptămâni de tratament, măsurată prin Scorul Birmingham pentru gradul de activitate al vasculitelor (BVAS).

## **În ce stadiu se afla evaluarea în momentul retragerii cererii?**

Cererea a fost retrasă după ce CHMP evaluase documentația prezentată de companie și formulase listele de întrebări. În momentul retragerii cererii, compania nu răspunsese încă la ultima rundă de întrebări.

## **Care a fost recomandarea CHMP în momentul respectiv?**

Pe baza analizării datelor și a răspunsului companiei la listele de întrebări ale CHMP, în momentul retragerii cererii CHMP avea unele motive de îngrijorare și a dat un aviz provizoriu potrivit căruia Vynpenta nu putea fi aprobat pentru tratamentul granulomatozei cu poliangieită și al poliangieitei microscopice.

CHMP a constatat existența unor probleme în modul de concepere a studiilor și a exprimat îngrijorare cu privire la faptul că datele disponibile nu ar fi suficiente pentru a demonstra eficacitatea Vynpenta în tratarea acestor afecțiuni. Deși studiile au indicat îmbunătățiri parțiale ale BVAS la mai mulți pacienți tratați cu Vynpenta decât la cei care primeau tratamentul standard, acest lucru nu a fost considerat pe deplin relevant, deoarece pacienții care prezintă doar o îmbunătățire parțială a simptomelor sunt expuși unui risc mare de recidivă a bolii. În privința celuilalt mod de măsurare a eficacității, și anume proporția de pacienți care nu au mai avut niciun simptom, medicamentul nu a părut să fie mai eficace decât tratamentul standard.

În ceea ce privește siguranța, comitetul a constatat că datele privind reacțiile adverse la Vynpenta sunt foarte limitate. În plus, existau motive de îngrijorare referitoare la alegerea materiilor prime folosite pentru prepararea medicamentului.

Prin urmare, la momentul retragerii cererii, în opinia CHMP, compania nu prezentase suficiente date în sprijinul cererii pentru autorizarea Vynpenta.

## **Care au fost motivele invocate de companie pentru retragerea cererii?**

În scrisoarea prin care înștiințează agenția cu privire la retragerea cererii, compania a declarat că a decis să își concentreze eforturile asupra depunerii unei viitoare cereri de autorizație normală de punere pe piață, având în vedere că în curând urmează să fie disponibile date de la un studiu în desfășurare la peste 300 de pacienți care au primit tratament timp de 52 de săptămâni.

Scrisoarea de înștiințare cu privire la retragerea cererii este disponibilă [aici](#).

## **Care sunt consecințele retragerii cererii pentru pacienții din studii clinice sau din programe de uz compasional?**

Compania a informat CHMP că această retragere nu are consecințe pentru studiile clinice sau programele de uz compasional derulate în prezent cu Vynpenta.

Dacă participați la un studiu clinic sau la un program de uz compasional și aveți nevoie de informații suplimentare despre tratamentul dumneavoastră, adresați-vă medicului care vă administrează acest medicament.