



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Återkallande av ansökan om godkännande för försäljning av Vynpenta (avacopan)

Den 23 januari 2019 underrättade ChemoCentryx officiellt Europeiska läkemedelsmyndighetens kommitté för humanläkemedel (CHMP) om att de önskar återkalla sin ansökan om godkännande för försäljning för Vynpenta (avacopan), som var avsett för behandling av blodkärlssjukdomarna granulomatös med polyangit och mikroskopisk polyangit.

### Vad är Vynpenta?

Vynpenta är ett läkemedel som innehåller den aktiva substansen avacopan. Det skulle finnas som kapslar avsedda att tas genom munnen.

### Vad skulle Vynpenta användas för?

Vynpenta skulle användas för att kontrollera inflammation i blodkärlen hos vuxna med granulomatös med polyangit (GPA) eller mikroskopisk polyangit (MPA). Läkemedlet skulle ges i kombination med cyklofosamid eller rituximab.

Vynpenta klassificerades den 19 november 2014 som ett säräkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) avsett att användas vid dessa sjukdomar. Mer information om klassificeringen som säräkemedel finns här: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141373](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141373) (granulomatös med polyangit), [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141372](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141372) (mikroskopisk polyangit).

### Hur verkar Vynpenta?

Vynpenta blockerar receptorn (målet) för ett protein i blodet som kallas komplement 5a (C5a), som ingår i immunsystemet (kroppens naturliga försvar).

När C5a fäster vid sin receptor drar det till sig och aktiverar immunceller som kallas neutrofiler, vilket antas bidra till inflammationen i små blodkärl vid granulomatös med polyangit och mikroskopisk polyangit. Genom att blockera receptorn för C5a förväntades Vynpenta minska inflammationen i små blodkärl, och därigenom förbättra symtomen på sjukdomen.



## Vad har företaget lämnat in som stöd för sin ansökan?

Till stöd för sin ansökan om villkorligt godkännande för försäljning har företaget lämnat in resultaten från två studier på totalt 109 patienter. I en av studierna jämfördes Vynpenta med standardbehandling där prednison (en kortikosteroid) ingick, medan Vynpenta plus prednison jämfördes med prednison i den andra studien. I båda studierna var huvudmålet på effekt andelen patienter där symtomen på blodkärlsinflammation minskade med minst 50 procent under 12 veckors behandling, uppmätt genom "Birmingham Vasculitis Activity Score" (BVAS).

## Hur långt hade utvärderingen kommit när ansökan drogs tillbaka?

Ansökan drogs tillbaka efter det att CHMP hade utvärderat den dokumentation som företaget lämnat in och sammanställt en frågelista. Vid tidpunkten för återkallandet hade företaget ännu inte besvarat den sista omgången frågor.

## Vad rekommenderade CHMP vid den tidpunkten?

Efter genomgång av de inlämnade uppgifterna och företags svar på CHMP:s frågelista hyste CHMP vid tidpunkten för återkallandet vissa betänkligheter och ansåg preliminärt att Vynpenta inte skulle ha kunnat godkännas för behandling av granulomatos med polyangit och mikroskopisk polyangit.

CHMP fann problem i utformningen av studierna och hyste farhågor över att de tillgängliga uppgifterna inte var tillräckliga för att visa att Vynpenta är effektivt vid behandlingen av dessa sjukdomar. Trots att studierna visade att fler patienter som behandlades med Vynpenta upplevde partiella förbättringar av BVAS än vid standardbehandling ansågs inte detta vara helt relevant eftersom det är stor risk för att sjukdomen kommer tillbaka hos patienter som endast upplever en partiell förbättring av symtomen. Läkemedlet verkade inte fungera bättre än standardbehandling när det gäller ett annat effektmått: andelen patienter som inte uppvisade några symtom.

Vad gäller säkerheten noterade kommittén att uppgifterna om Vynpentas biverkningar var mycket begränsade. Dessutom fanns det betänkligheter över de startmaterial som valts för att tillverka läkemedlet.

Vid tidpunkten för återkallandet ansåg därför CHMP att företaget inte hade lämnat in tillräckliga uppgifter som stöd för sin ansökan för Vynpenta.

## Vilka skäl angav företaget till att dra tillbaka sin ansökan?

I skrivelsen till myndigheten om att ansökan återkallas uppgav företaget att det hade beslutat att inrikta sitt arbete på en framtida inlämning av en fullständig ansökan om godkännande för försäljning, till följd av att ytterligare data snart skulle vara tillgängliga från en pågående studie på över 300 patienter som behandlats i 52 veckor.

Företagets skrivelse om återkallande av ansökan finns [här](#).

## Vilka följder får återkallandet för patienter som deltar i kliniska prövningar eller s.k. compassionate use-program?

Företaget informerade CHMP om att detta återkallande inte får några följder för pågående kliniska prövningar eller s.k. compassionate use-program med Vynpenta.

Om du deltar i en klinisk prövning eller ett s.k. compassionate use-program och behöver mer information om din behandling kan du kontakta den läkare som ger dig läkemedlet.