



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

1. február 2019
EMA/38410/2019
EMA/H/C/004487

Stiahnutie žiadosti o povolenie na uvedenie na trh pre liek Vynpenta (avacopan)

Dňa 23. januára 2019 spoločnosť ChemoCentryx oficiálne oznámila Výboru pre lieky na humánne použitie (CHMP) rozhodnutie stiahnuť svoju žiadosť o podmienené povolenie na uvedenie lieku Vynpenta (avacopan) na trh, ktorý je určený na liečbu porúch krvných ciev granulomatózy s polyangiitídou a mikroskopickej polyangiitídy.

Čo je Vynpenta?

Vynpenta je liek, ktorý obsahuje liečivo avacopan. Liek mal byť dostupný vo forme kapsúl určených na užitie ústami.

Aké bolo predpokladané použitie lieku Vynpenta?

Liek Vynpenta sa mal používať na kontrolu zápalu krvných ciev u dospelých s granulomatózou s polyangiitídou (GPA) a mikroskopickou polyangiitídou (MPA). Očakávalo sa, že liek sa bude používať v kombinácii s cyklofosfamidom alebo rituximabom.

Liek Vynpenta bol 19. novembra 2014 označený za liek na ojedinelé ochorenia (liek, ktorý sa používa pri ojedinelých ochoreniach). Ďalšie informácie o označení lieku za liek na ojedinelé ochorenia môžete nájsť tu: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141373 (granulomatóza s polyangiitídou), ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141372 (mikroskopická polyangiitída).

Akým spôsobom liek Vynpenta účinkuje?

Vynpenta blokuje receptor (cieľ) proteínu v krvi nazývaný komplement 5a, ktorý je súčasťou imunitného systému (prirodzený obranný systém organizmu).

Keď sa C5a naviaže na svoj receptor, viaže a aktivuje imunitné bunky nazývané neutrofil, ktoré prispievajú k zápalu malých krvných ciev pri granulomatóze s polyangiitídou a mikroskopickej polyangiitíde. Očakávalo sa, že liek Vynpenta blokovaním receptora pre C5a zmierni zápal krvných ciev, čím sa zlepšia symptómy ochorenia.



Akou dokumentáciou podložila spoločnosť svoju žiadosť?

Spoločnosť na podporu svojej žiadosti o podmienené povolenie na uvedenie na trh predložila výsledky z dvoch štúdií, na ktorých sa zúčastnilo celkovo 109 pacientov. V jednej štúdii sa porovnával liek Vynpenta so štandardnou liečbou vrátane prednizónu (kortikosteroidu), zatiaľ čo v druhej štúdii sa porovnávalo užívanie lieku Vynpenta s prednizónom a užívanie iba prednizónu. V oboch štúdiách bol hlavnou mierou účinnosti pomer pacientov, u ktorých sa zmiernili symptómy zápalu krvných ciev aspoň o 50 % počas 12 týždňov liečby, čo sa meralo použitím skóre aktivity BVAS (Birmingham Vasculitis Activity Score)

V akej fáze hodnotenia bola žiadosť v čase stiahnutia?

Žiadosť bola stiahnutá potom, ako výbor CHMP vyhodnotil dokumentáciu, ktorú spoločnosť predložila, a vypracoval zoznamy otázok. Spoločnosť v čase stiahnutia žiadosti ešte neodpovedala na poslednú sériu otázok.

Aké bolo v tom čase odporúčanie výboru CHMP?

Na základe preskúmania údajov a odpovedí spoločnosti na zoznamy otázok výboru CHMP mal výbor CHMP v čase stiahnutia žiadosti určité výhrady a dospel k predbežnému stanovisku, že liek Vynpenta nemôže byť povolený na liečbu granulomatózy s polyangiitídou a mikroskopickéj polyangiitídy.

Výbor CHMP zistil problémy s prípravou štúdií a mal výhrady, že dostupné údaje nedostatočne preukazujú, že liek Vynpenta je účinný pri liečbe týchto ochorení. Hoci sa v štúdiách preukázali čiastočné zlepšenia v skóre BVAS u väčšieho počtu pacientov, ktorí boli liečení liekom Vynpenta, než u pacientov liečených štandardnou liečbou, nepovažovalo sa to za úplne relevantné, pretože pacientom, u ktorých došlo iba k čiastočnému zlepšeniu symptómov, hrozí vysoké riziko návratu ochorenia. Nepreukázalo sa, že liek účinkuje lepšie ako štandardná liečba v ďalšom kritériu: pomer pacientov, ktorí nemali žiadne symptómy.

Pokiaľ ide o bezpečnosť, výbor CHMP konštatoval, že údaje o vedľajších účinkoch lieku Vynpenta boli veľmi obmedzené. Okrem toho existovali výhrady týkajúce sa výberu vstupných surovín na výrobu lieku.

Výbor CHMP preto v čase stiahnutia žiadosti zastával názor, že spoločnosť nepredložila dostatočné údaje na podporu žiadosti pre liek Vynpenta.

Aké dôvody na stiahnutie žiadosti uviedla spoločnosť?

Vo svojom liste oznamujúcom agentúre stiahnutie žiadosti spoločnosť uviedla, že sa rozhodla zamerať svoje úsilie na predloženie žiadosti o úplné povolenie na uvedenie na trh v budúcnosti vzhľadom na to, že ďalšie údaje z prebiehajúcej štúdie, ktorá zahŕňa viac ako 300 pacientov, ktorým je podávaná liečba počas 52 týždňov, budú čoskoro k dispozícii.

List spoločnosti oznamujúci agentúre stiahnutie žiadosti sa nachádza [tu](#).

Aké sú dôsledky stiahnutia žiadosti pre pacientov, ktorí sa zúčastňujú na klinických skúšaniach a na programoch na použitie lieku v naliehavých prípadoch?

Spoločnosť informovala výbor CHMP, že pre klinické skúšky alebo programy na použitie lieku Vynpenta v naliehavých prípadoch nevyplývajú zo stiahnutia žiadne dôsledky.

Ak sa zúčastňujete na klinickom skúšaní alebo na programe na použitie lieku v naliehavých prípadoch a potrebujete viac informácií o svojej liečbe, obráťte sa na svojho ošetrojúceho lekára.