



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

24. ledna 2014  
EMA/33514/2014  
EMA/H/C/002683

## Otázky a odpovědi

---

# Stažení žádosti o vydání rozhodnutí o registraci přípravku Winfuran (nalfurafin)

Dne 17. ledna 2014 společnost Toray International U.K. Limited oficiálně oznámila Výboru pro humánní léčivé přípravky (CHMP), že se rozhodla stáhnout svou žádost o vydání rozhodnutí o registraci přípravku Winfuran, určeného k léčbě závažného uremického pruritu (formy svědění) u pacientů s konečnou fází onemocnění ledvin, kteří jsou na dialýze.

## Co je Winfuran?

Winfuran je léčivý přípravek, který obsahuje léčivou látku nalfurafin. Měl být k dispozici ve formě koncentráту k přípravě infuzního roztoku do žíly.

## K čemu měl být přípravek Winfuran používán?

Přípravek Winfuran měl být používán k léčbě pacientů se závažným uremickým pruritem. Uremický pruritus je přetrvávající forma svědění, která se objevuje u některých pacientů, jejichž ledviny správně nepracují. Přípravek Winfuran měl být používán u pacientů s konečnou fází onemocnění ledvin (kdy ledviny zcela přestaly fungovat), kteří podstupují dialýzu (techniku odstraňování odpadních produktů z krve).

Přípravek Winfuran byl označen jako léčivý přípravek pro vzácná onemocnění dne 11. září 2002, přičemž měl být určen k léčbě uremického pruritu. Další informace naleznete [zde](#).

## Jak by měl přípravek Winfuran působit?

Ačkoli přesná příčina uremického pruritu není známa, má se za to, že svědění souvisí s nadměrnou aktivitou určitých receptorů zvaných mu-opioidní receptory v mozku a kůži. Přípravek Winfuran aktivuje odlišné opioidní receptory zvané kappa receptory, čímž blokuje aktivitu mu-opioidních receptorů, a vede proto u pacientů s uremickým pruritem k úlevě od svědění.



## **Jakou dokumentaci předložila společnost na podporu své žádosti?**

Účinky přípravku Winfuran byly nejprve testovány na experimentálních modelech a teprve poté na lidech.

Účinky přípravku Winfuran byly srovnávány s placebem (léčbou neúčinným přípravkem) v jedné hlavní studii zahrnující 339 pacientů s uremickým pruritem, kteří pravidelně podstupovali dialýzu. Hlavním měřítkem účinnosti byla změna symptomů, např. intenzity svědění a poruch spánku, po 4 týdnech léčby na základě standardního skórovacího systému.

## **V jaké fázi bylo posuzování žádosti v době, kdy byla stažena?**

Posuzování bylo ukončeno a výbor CHMP vydal záporné stanovisko.

## **Jaké bylo doporučení výboru CHMP v dané době?**

Na základě vyhodnocení dostupných údajů vydal výbor CHMP v době stažení žádosti záporné stanovisko, ve kterém doporučil zamítnout registraci přípravku Winfuran k léčbě závažného uremického pruritu.

Výbor CHMP měl zejména obavu, že přínosy přípravku Winfuran v rámci léčby uremického pruritu nebyly dostatečně prokázány. Hlavní studie neprokázala, že by byl přípravek Winfuran při úlevě od svědění účinnější než placebo. Ačkoli další analýza ukázala mírný přínos v subpopulaci pacientů se závažnou formou uremického pruritu, výbor CHMP dospěl k názoru, že klinická významnost nebyla prokázána. Výbor CHMP proto v době stažení žádosti zastával názor, že přínosy přípravku Winfuran nepřevyšují jeho rizika. Výbor CHMP tedy dospěl k závěru, že na základě údajů předložených společností nelze přípravek schválit.

## **Jaké důvody stažení žádosti uvedla společnost?**

Ve svém oficiálním dopise společnost uvedla, že rozhodnutí stáhnout žádost o registraci učinila na základě názoru výboru CHMP, že předložené údaje mu neumožňují odvodit závěry o příznivém poměru přínosů a rizik.

Dopis ohledně stažení žádosti je k dispozici [zde](#).

## **Jaké jsou důsledky stažení žádosti pro pacienty zařazené do klinických studií nebo do programů, v nichž je přípravek Winfuran podáván v rámci léčby z humanitních důvodů (na základě principu tzv. compassionate use)?**

Společnost informovala výbor CHMP, že neprobíhají žádné klinické studie nebo programy, v nichž je přípravek Winfuran podáván v rámci léčby z humanitních důvodů.