



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

Den 24. januar 2014
EMA/33514/2014
EMA/H/C/002683

Spørgsmål og svar

Tilbagetrækning af ansøgningen om markedsføringstilladelse for Winfuran (nalfurafin)

Den 17. januar 2014 meddelte Toray International U.K. Limited officielt Udvalget for Lægemidler til Mennesker (CHMP), at virksomheden ønsker at trække sin ansøgning om markedsføringstilladelse tilbage for Winfuran til behandling af kløe (svær uræmisk pruritus) hos dialysepatienter med nyresygdom i slutstadiet.

Hvad er Winfuran?

Winfuran er et lægemiddel, der indeholder det aktive stof nalfurafin. Det skulle have været leveret som koncentrat til infusionsvæske, opløsning, i en vene.

Hvad forventedes Winfuran anvendt til?

Winfuran forventedes anvendt til behandling af svær uræmisk pruritus. Uræmisk pruritus er vedvarende kløe, der optræder hos nogle patienter, hvis nyrer ikke fungerer korrekt. Winfuran skulle anvendes hos patienter, hvis nyrer var holdt helt op med at virke (nyresygdom i slutstadiet), og som fik dialyse for at få fjernet affaldsstoffer fra blodet.

Winfuran blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 11. september 2002 til uræmisk pruritus. Yderligere information findes [her](#).

Hvordan forventes Winfuran at virke?

Den nøjagtige årsag til uræmisk pruritus kendes ikke, men kløen menes at hænge sammen med for stor aktivitet af visse receptorer, my-opioidreceptorer, i hjernen og i huden. Winfuran aktiverer nogle andre receptorer, kappa-receptorerne, som blokerer aktiviteten af my-opioidreceptorerne og derved lindrer kløen hos patienter med uræmisk pruritus.

7 Westferry Circus • Canary Wharf • London E14 4HB • United Kingdom

Telephone +44 (0)20 7418 8400 **Facsimile** +44 (0)20 7523 7129

E-mail info@ema.europa.eu **Website** www.ema.europa.eu

An agency of the European Union



Hvilken dokumentation fremlagde virksomheden i forbindelse med ansøgningen til CHMP?

Virkningerne af Winfuran blev først afprøvet i forsøgsmodeller, inden de blev undersøgt hos mennesker.

Winfuran blev sammenlignet med placebo (en virkningsløs behandling) i én hovedundersøgelse med deltagelse af 339 patienter, der havde uræmisk pruritus og var i regelmæssig dialysebehandling. Behandlingens virkning blev hovedsagelig bedømt på ændringen i symptomer, såsom kløeintensitet og søvnforstyrrelse, efter fire ugers behandling, baseret på et standardscoresystem.

Hvor langt var vurderingen af ansøgningen nået, da den blev trukket tilbage?

Vurderingen var afsluttet, og CHMP havde afgivet en negativ udtalelse.

Hvad anbefalede CHMP på daværende tidspunkt?

På baggrund af gennemgangen af dataene havde CHMP afgivet en negativ udtalelse og anbefalet afslag på udstedelse af markedsføringstilladelse for Winfuran til behandling af svær uræmisk pruritus.

CHMP's hovedbetænkelighed var, at fordelene ved Winfuran til behandling af uræmisk pruritus ikke var tilstrækkelig påvist. Det kunne ikke påvises i hovedundersøgelsen, at Winfuran var mere effektivt end placebo til at lindre kløen. En supplerende analyse viste en beskeden fordel hos en undergruppe af patienter med en svær form for uræmisk pruritus, men CHMP fandt ikke, at den kliniske betydning heraf var påvist. Derfor var CHMP på tidspunktet for tilbagetrækningen af den opfattelse, at fordelene ved Winfuran ikke opvejede risiciene, og konkluderede, at lægemidlet ikke kunne være blevet godkendt på baggrund af de oplysninger, som virksomheden havde fremlagt.

Hvilke begrundelser gav virksomheden for tilbagetrækningen af ansøgningen?

I sit officielle brev erklærede virksomheden, at den havde besluttet at trække ansøgningen tilbage, fordi CHMP fandt, at de forelagte data ikke gjorde det muligt for udvalget at vurdere benefit/risk-forholdet som positivt.

Brevet om tilbagetrækningen kan ses her.

Hvilke konsekvenser har tilbagetrækningen for patienter, der deltager i kliniske undersøgelser med Winfuran eller i programmer for anvendelse af Winfuran med særlig udleveringstilladelse?

Virksomheden har meddelt CHMP, at der ikke er nogen igangværende kliniske undersøgelser eller programmer for anvendelse med særlig udleveringstilladelse for Winfuran.