



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

24 janvier 2014
EMA/33514/2014
EMA/H/C/002683

Questions et réponses

Retrait de la demande d'autorisation de mise sur le marché pour Winfuran (nalfurafine)

Le 17 janvier 2014, Toray International U.K. Limited a officiellement notifié au comité des médicaments à usage humain (CHMP) son souhait de retirer sa demande d'autorisation de mise sur le marché pour Winfuran, destiné au traitement du prurit urémique sévère (une forme de démangeaisons) chez les patients dialysés présentant une maladie rénale au stade terminal.

Qu'est-ce que Winfuran?

Winfuran est un médicament qui contient le principe actif nalfurafine. Il devait être disponible sous la forme d'une solution concentrée à diluer pour solution pour perfusion veineuse.

Dans quel cas Winfuran devait-il être utilisé?

Winfuran devait être utilisé pour le traitement de patients souffrant de prurit urémique sévère. Le prurit urémique sévère est une forme persistante de démangeaisons survenant chez certains patients dont les reins ne fonctionnent pas correctement. Winfuran était destiné aux patients présentant une maladie rénale au stade terminal (lorsque les reins ont totalement arrêté de fonctionner) et qui sont sous dialyse (une technique d'épuration du sang).

Winfuran a été désigné comme étant un «médicament orphelin» (médicament utilisé pour des maladies rares), le 11 septembre 2002, pour le prurit urémique. Pour plus d'informations, voir [ici](#).

Comment Winfuran doit-il agir?

Bien que la cause exacte du prurit urémique ne soit pas connue, il est présumé que les démangeaisons sont liées à une activité excessive de certains récepteurs appelés récepteurs mu des opioïdes, localisés dans le cerveau et la peau. Winfuran active d'autres récepteurs des opioïdes, appelés récepteurs



kappa, qui bloquent l'activité des récepteurs mu des opioïdes et soulage ainsi les démangeaisons chez les patients souffrant de prurit urémique.

Quelle a été la documentation présentée par la société pour justifier sa demande?

Les effets de Winfuran ont d'abord été testés sur des modèles expérimentaux avant d'être étudiés chez l'homme.

Les effets de Winfuran ont été comparés avec ceux d'un placebo (un traitement fictif) dans une étude principale incluant 339 patients souffrant de prurit urémique, régulièrement soumis à une dialyse. La principale mesure de l'efficacité était la modification de symptômes tels que l'intensité des démangeaisons et les troubles du sommeil après 4 semaines de traitement, mesurée à l'aide d'un système standard d'évaluation.

À quel stade en était l'évaluation lors du retrait de la demande?

L'évaluation était terminée et le CHMP avait rendu un avis négatif.

Quelle était la recommandation du CHMP à ce stade?

Sur la base de l'examen des données, au moment du retrait, le CHMP avait rendu un avis négatif, recommandant le refus de l'octroi d'une autorisation de mise sur le marché pour Winfuran pour le traitement du prurit urémique sévère.

La principale réserve du CHMP était que les bénéfices de Winfuran dans le traitement du prurit urémique n'avaient pas été suffisamment démontrés. L'étude principale ne permettait pas de montrer que Winfuran était plus efficace que le placebo pour soulager les démangeaisons. Bien qu'une analyse complémentaire ait démontré un bénéfice modeste dans une sous-population de patients souffrant d'une forme sévère de prurit urémique, le CHMP a considéré que son importance clinique n'avait pas été démontrée. Par conséquent, au moment du retrait, l'avis du CHMP était que les bénéfices de Winfuran n'étaient pas supérieurs à ses risques et le CHMP a conclu que le médicament n'aurait pas pu être approuvé sur la base des données présentées par la société.

Quels ont été les motifs invoqués par la société pour le retrait de la demande?

Dans sa lettre officielle, la société a déclaré que sa décision de retirer la demande était fondée sur l'avis du CHMP selon lequel les données fournies ne permettent pas au comité de conclure que le rapport bénéfice/risque est positif.

La lettre de retrait est disponible [ici](#).

Quelles sont les conséquences du retrait pour les patients participant aux essais cliniques ou bénéficiant de programmes d'utilisation compassionnelle?

La société a informé le CHMP qu'il n'y a pas d'essais cliniques ou de programmes d'utilisation compassionnelle en cours pour Winfuran.