



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Kérdések és válaszok

A Winfuran-ra (nalfurafin) vonatkozó forgalomba hozatali engedély iránti kérelem visszavonása

2014. január 17-én a Toray International U.K. Limited hivatalosan értesítette az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottságát (CHMP), hogy vissza kívánja vonni a végstádiumú vesebetegségben szenvedő, dializált betegekben jelentkező, súlyos urémiás pruritusz (a viszketés egy formája) kezelésére szánt Winfuran-ra vonatkozó forgalomba hozatali engedély iránti kérelmét.

Milyen típusú gyógyszer a Winfuran?

A Winfuran egy olyan gyógyszer, amely hatóanyagként nalfurafint tartalmaz. Vénába adandó oldatos infúzióhoz való koncentrátumként lett volna kapható.

Milyen alkalmazásra szánták a Winfuran-t?

A Winfuran-t súlyos urémiás prurituszban szenvedő betegek kezelésére szánták. Az urémiás pruritusz a viszketés tartós formája, amely néhány olyan betegben fordul elő, akiknél a vesék nem működnek megfelelően. A Winfuran-t végstádiumú vesebetegségben (amikor a vesék teljesen leálltak) szenvedő, és dializált (a vérben lévő szennyezőanyagok eltávolítására szolgáló technika) betegeknél történő alkalmazásra szánták.

A Winfuran 2002. szeptember 11-én az urémiás pruritusz tekintetében „ritka betegségek gyógyszere” (ritka betegségekben használatos gyógyszer) minősítést kapott. További információk [itt](#) találhatóak.

Milyen hatásmechanizmust várnak a Winfuran-tól?

Bár az urémiás pruritusz pontos oka nem ismert, úgy vélik, hogy a viszketés az agyban és a bőrben található, úgynevezett μ -opioid receptorok túlzott aktivitásával áll összefüggésben. A Winfuran ettől eltérő opioid receptorokat, az úgynevezett κ -opioid receptorokat aktiválja, amelyek gátolják a μ -opioid receptorokat, és ezáltal enyhítik a viszketést urémiás prurituszban szenvedő betegeknél.



Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a kérelem alátámasztására?

A Winfuran hatásait először kísérleti modelleken tesztelték, mielőtt embereken kipróbálták volna.

A Winfuran hatásait placebóval (hatóanyag nélküli kezelés) hasonlították össze egy fő vizsgálatban, amelyben 339 urémiás prurituszban szenvedő, regulárisan dializált beteg vett részt. A hatékonyság fő mértéke a tünetek változása, például a viszketés intenzitása és az alvászavar volt egy standard pontrendszer alapján 4 hetes kezelést követően.

A visszavonás előtt meddig jutott el a kérelem az elbírálási folyamatban?

Az értékelés befejeződött, és a CHMP negatív szakvéleményt adott.

Mit tartalmazott a CHMP ajánlása az adott időpontban?

A visszavonás időpontjában az adatok áttekintése alapján a CHMP negatív szakvéleményt adott, és a súlyos urémiás pruritusz kezelésére szánt Winfuran-ra vonatkozó forgalomba hozatali engedély kiadásának elutasítását javasolta.

A CHMP fő aggálya az volt, hogy az urémiás pruritusz esetében nem igazolták elégséges mértékben a Winfuran előnyeit. A fő vizsgálatban nem sikerült igazolni, hogy a viszketés enyhítésében a Winfuran hatékonyabb volt a placebónál. Bár a kiegészítő elemzésben mérsékelt előnyt mutattak ki az urémiás pruritusz súlyos formájában szenvedő betegek egy alcsoportjában, a CHMP úgy vélte, hogy a klinikai relevanciát nem támasztották alá. Ezért a visszavonás időpontjában a CHMP véleménye szerint a Winfuran előnyei nem haladták meg a kockázatokat, és arra a következtetésre jutott, hogy a vállalat által közölt adatok alapján a gyógyszer nem engedélyezhető.

Mivel indokolta a vállalat a kérelem visszavonását?

Hivatalos levelében a vállalat azt nyilatkozta, hogy a kérelem visszavonására vonatkozó döntését a CHMP azon véleményére alapozta, hogy a benyújtott adatok nem teszik lehetővé, hogy a bizottság pozitív előny-kockázat profilra utaló következtetést vonjon le.

A visszavonásról szóló levél itt található.

Milyen következményekkel jár a visszavonás azokra a betegekre nézve, akik részt vettek a klinikai vizsgálatokban vagy az engedélyezés előtti kezelési programokban?

A vállalat tájékoztatta a CHMP-t, hogy jelenleg nincs folyamatban klinikai vizsgálat vagy engedélyezés előtti kezelési program a Winfuran vonatkozásában.