



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Domande e risposte

Ritiro della domanda di autorizzazione all'immissione in commercio per Winfuran (nalfurafina)

Il 17 gennaio 2014 Toray International U.K. Limited ha notificato ufficialmente al comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) la sua intenzione di ritirare la domanda di autorizzazione all'immissione in commercio per Winfuran, per il trattamento del prurito uremico severo (una forma di prurito) nei pazienti con malattia renale allo stadio terminale in dialisi.

Che cos'è Winfuran?

Winfuran è un medicinale che contiene il principio attivo nalfurafina. Avrebbe dovuto essere disponibile come concentrato per soluzione per infusione endovenosa.

Per che cosa avrebbe dovuto essere usato Winfuran?

Winfuran avrebbe dovuto essere usato per il trattamento di pazienti con prurito uremico severo. Il prurito uremico è una forma persistente di prurito, che compare in alcuni pazienti con funzione renale compromessa. Winfuran avrebbe dovuto essere usato nei pazienti con malattia renale allo stadio terminale (quando i reni hanno smesso completamente di funzionare) e sottoposti a dialisi (una tecnica per eliminare i prodotti di scarto dal sangue).

Winfuran è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) l'11 settembre 2002 per il prurito uremico. Per ulteriori informazioni, vedere [qui](#).

Come avrebbe dovuto agire Winfuran?

Sebbene non sia nota la causa esatta del prurito uremico, si ritiene che il prurito sia legato a un'attività eccessiva di alcuni recettori, denominati recettori mu-oppioidi, nel cervello e nella cute. Winfuran attiva recettori oppioidi diversi, denominati kappa-recettori, che bloccano l'attività dei recettori mu-oppioidi, alleviando così il fastidio nei pazienti con prurito uremico.



Quale documentazione ha presentato la ditta a sostegno della domanda?

Prima di essere studiati nell'uomo, gli effetti di Winfuran sono stati testati in modelli sperimentali.

Gli effetti di Winfuran sono stati confrontati con il placebo (un trattamento fittizio) in uno studio principale che ha coinvolto 339 pazienti con prurito uremico, sottoposti a dialisi regolare. La misura principale di efficacia era la variazione dei sintomi, quali intensità del prurito e disturbi del sonno, dopo 4 settimane di trattamento, sulla base di un sistema di punteggio standard.

A che punto della valutazione si trovava la domanda quando è stata ritirata?

La valutazione era stata portata a termine e il CHMP aveva espresso un parere negativo.

Qual era la raccomandazione del CHMP a quel punto?

In base all'esame dei dati, al momento del ritiro della domanda, il CHMP aveva espresso parere negativo e aveva raccomandato il rifiuto del rilascio dell'autorizzazione all'immissione in commercio di Winfuran per il trattamento del prurito uremico severo.

Il principale timore del CHMP era che i benefici di Winfuran nel trattamento del prurito uremico non fossero stati sufficientemente dimostrati. Lo studio principale non era riuscito a dimostrare una maggiore efficacia di Winfuran rispetto al placebo nel sollievo del prurito. Anche se un'analisi supplementare aveva evidenziato un modesto beneficio in una sottopopolazione di pazienti con una forma severa di prurito uremico, il CHMP ha ritenuto che non fosse stata dimostrata la rilevanza clinica. Pertanto, al momento del ritiro della domanda, il CHMP riteneva che i benefici di Winfuran non fossero superiori ai suoi rischi e ha concluso che il medicinale non poteva essere autorizzato sulla base dei dati presentati dalla ditta.

Quali sono stati i motivi invocati dalla ditta per il ritiro della domanda?

Nella sua lettera ufficiale, la ditta affermava che la decisione di ritirare la domanda si basava sull'opinione del CHMP, secondo cui i dati forniti non consentono al comitato di esprimere una conclusione su un rapporto rischi/benefici positivo.

La lettera con cui la ditta notifica il ritiro è consultabile qui.

Quali sono le conseguenze del ritiro per i pazienti inseriti in studi clinici o in programmi di uso compassionevole?

La ditta ha informato il CHMP che non vi sono studi clinici o programmi di uso compassionevole in corso per Winfuran.