



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2014 m. sausio 24 d.
EMA/33514/2014
EMA/H/C/002683

Klausimai ir atsakymai

Paraiškos gauti Winfuran (nalfurafino) rinkodaros leidimą atsiėmimas

2014 m. sausio 17 d. bendrovė „Toray International U.K. Limited“ oficialiai pranešė Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komitetui (CHMP) apie savo pageidavimą atsiimti paraišką gauti Winfuran, skirtą paskutinės stadijos inkstų liga sergantiems pacientams, kuriems atliekama dializė, pasireiškiančio stipraus ureminio niežėjimo gydymui, rinkodaros leidimą.

Kas yra Winfuran?

Winfuran – tai vaistas, kurio sudėtyje yra veikliosios medžiagos nalfurafino. Jį buvo numatyta tiekti į veną lašinamo tirpalo koncentrato forma.

Kokiais atvejais buvo numatyta vartoti Winfuran?

Winfuran buvo numatyta gydyti pacientus, kuriems pasireiškia stiprus ureminis niežėjimas. Ureminis niežėjimas – tai kai kuriems pacientams, kurių inkstų veikla sutrikusi, pasireiškiantis nuolatinis niežėjimas. Winfuran buvo numatyta gydyti paskutinės stadijos inkstų liga (kai inkstai visiškai nebefunkcionuoja) sergančius pacientus, kuriems atliekama dializė (liekamųjų produktų pašalinimo iš kraujo būdas).

2002 m. rugsėjo 11 d. Winfuran buvo priskirtas prie retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) nuo ureminio niežėjimo. Daugiau informacijos rasite [čia](#).

Kokio tikimasi Winfuran veikimo?

Nors tikslu ureminio niežėjimo priežastis nežinoma, manoma, kad šis niežėjimas susijęs su pernelyg dideliu tam tikrų receptorių, vadinamų miu opioidų receptoriais, aktyvumu galvos smegenyse ir odoje. Winfuran aktyvina kitokius opioidų receptorius, vadinamus kapa receptoriais, kurie blokuoja miu



opioidų receptorių veikimą ir todėl palengvina pacientų, kuriems pasireiškia ureminis niežėjimas, juntamą niežėjimą.

Kokius dokumentus bendrovė pateikė kartu su paraiška?

Pirmiausia Winfuran poveikis buvo išbandytas su eksperimentiniais modeliais ir tik tada buvo tiriamas jo poveikis žmonėms.

Winfuran poveikis buvo lyginamas su placebo (vaisto be veikliosios medžiagos) poveikiu atliekant vieną pagrindinį tyrimą, kuriame dalyvavo 339 pacientai, kuriems nuolat buvo atliekama dializė ir pasireiškė ureminis niežėjimas. Pagrindinis veiksmingumo rodiklis buvo standartinė vertinimo balais sistema pagrįstas simptomų, pvz., niežėjimo intensyvumo ir miego sutrikimų, pokytis per 4 gydymo savaites.

Kuriuo paraiškos nagrinėjimo etapu paraiška atsiimta?

Baigęs preparato vertinimą, CHMP pateikė neigiamą nuomonę.

Kokia tuo metu buvo CHMP rekomendacija?

Remdamasis peržiūretais duomenimis, paraiškos atsiėmimo metu CHMP buvo priėmęs neigiamą nuomonę ir rekomendavo nesuteikti pagal stipraus ureminio niežėjimo gydymo indikaciją vartojamo preparato Winfuran rinkodaros leidimo.

Pagrindinis CHMP rūpestį kėlęs klausimas buvo tai, kad buvo pateikta nepakankamai Winfuran naudą gydant ureminį niežėjimą patvirtinančių įrodymų. Pagrindinis tyrimas neįrodė, kad Winfuran veiksmingesnis už placebo siekiant palengvinti niežėjimą. Nors papildoma analizė parodė, kad Winfuran šiek tiek naudingas vienam iš pacientų, kuriems pasireiškia stiprus ureminis niežėjimas, pogrūpiui, CHMP laikėsi nuomonės, kad klinikinė tokios naudos reikšmė neįrodyta. Todėl paraiškos atsiėmimo metu CHMP laikėsi nuomonės, kad Winfuran nauda nėra didesnė už jo keliamą riziką ir padarė išvadą, kad, remiantis bendrovės pateiktais duomenimis, šio vaisto negalima registruoti.

Kokias paraiškos atsiėmimo priežastis nurodė bendrovė?

Savo oficialiame laiške bendrovė nurodė, kad sprendimas atsiimti paraišką buvo pagrįstas CHMP nuomone, jog, remdamasis pateiktais duomenimis, komitetas negali padaryti išvados, kad Winfuran naudos ir rizikos santykis yra teigiamas.

Laišką dėl paraiškos atsiėmimo galima rasti čia.

Kokių pasekmių paraiškos atsiėmimas turės pacientams, dalyvaujantiems klinikiniuose tyrimuose arba labdaringo vartojimo programose?

Bendrovė informavo CHMP, kad šiuo metu klinikiniai tyrimai ir labdaringo vartojimo programos, kurių metu vartojamas Winfuran, nevykdomi.