



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

24 stycznia 2014 r.
EMA/33514/2014
EMA/H/C/002683

Pytania i odpowiedzi

Wycofanie wniosku o dopuszczenie do obrotu dotyczącego produktu Winfuran (nalfurafina)

W dniu 17 stycznia 2014 r. firma Toray International U.K. Limited oficjalnie powiadomiła Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) o zamiarze wycofania wniosku o dopuszczenie do obrotu produktu leczniczego Winfuran, który miał być stosowany w leczeniu ciężkiego świądu mocznicowego (rodzaju swędzenia) u pacjentów w końcowym stadium choroby nerek poddawanych dializom.

Co to jest lek Winfuran?

Produkt Winfuran to lek zawierający substancję czynną nalfurafinę. Lek ten miał być dostępny w postaci koncentratu do sporządzania roztworu do wlewu dożylnego.

W jakim celu miał być stosowany lek Winfuran?

Lek Winfuran miał być stosowany w leczeniu pacjentów z ciężkim świądem mocznicowym. Świąd mocznicowy to utrzymujące się swędzenie, które występuje u niektórych pacjentów z nieprawidłową czynnością nerek. Lek mieli otrzymywać pacjenci w końcowym stadium choroby nerek (całkowite ustanie czynności nerek) poddawani dializie (technika usuwania produktów odpadowych przemiany materii z krwi).

W dniu 11 września 2002 r. lek Winfuran uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach) w leczeniu świądu mocznicowego. Więcej informacji znajduje się [tutaj](#).

Jakie jest oczekiwane działanie leku Winfuran?

Chociaż dokładna przyczyna występowania świądu mocznicowego nie jest znana, uważa się, że swędzenie związane jest z nadmierną czynnością pewnych receptorów zwanych receptorami opioidowymi mi, które występują w mózgu i w skórze. Lek Winfuran aktywuje różne receptory



opiodowe zwane receptorami kappa, które blokują czynność receptorów opiodowych mi, łagodząc w ten sposób swędzenie u pacjentów ze świądem mocznicowym.

Jaka dokumentacja została przedstawiona przez firmę na poparcie wniosku?

Zanim przeprowadzono badania na ludziach działanie leku Winfuran badano w modelach eksperymentalnych.

Działanie leku Winfuran porównano z placebo (leczenie pozorowane) w jednym badaniu głównym z udziałem 339 pacjentów ze świądem mocznicowym regularnie poddawanych dializie. Główną miarą skuteczności leczenia była zmiana nasilenia objawów takich, jak swędzenie i zaburzenia snu, po 4 tygodniach leczenia w oparciu o standardowy system oceny.

Na jakim etapie znajdowała się ocena w momencie wycofania wniosku?

Ocena wniosku została zakończona, a CHMP wydał negatywną opinię.

Jakie zalecenia wydał wówczas CHMP?

W momencie wycofania wniosku CHMP wydał negatywną opinię na podstawie przeglądu danych, zalecając odmowę przyznania pozwolenia na dopuszczenie produktu Winfuran do obrotu w leczeniu świądu mocznicowego.

Główne wątpliwości CHMP dotyczyły tego, iż nie wykazano w sposób wystarczający korzyści ze stosowania leku Winfuran w leczeniu świądu mocznicowego. Badanie główne nie wykazało większej skuteczności leku w łagodzeniu swędzenia w porównaniu z placebo. Choć dodatkowa analiza wykazała niewielkie korzyści stosowania leku w podgrupach pacjentów z ciężką postacią świądu mocznicowego, CHMP uznał, że nie wykazano ich istotności klinicznej. Dlatego też w momencie wycofania wniosku według CHMP korzyści ze stosowania produktu Winfuran nie przewyższały ryzyka i na podstawie danych przedstawionych przez firmę nie można zatwierdzić leku.

Jakie przyczyny wycofania wniosku podała firma?

W swoim oficjalnym piśmie firma oświadczyła, że decyzja o wycofaniu wniosku spowodowana jest tym, że CHMP uznał przedłożone dane za niewystarczające do stwierdzenia korzystnego stosunku korzyści do ryzyka stosowania leku.

Pismo powiadamiające o wycofaniu wniosku jest dostępne tutaj.

Jakie są skutki wycofania dla pacjentów uczestniczących w badaniach klinicznych lub programach „leczenia ostatniej szansy”?

Firma poinformowała CHMP, że nie trwają żadne badania kliniczne ani programy „leczenia ostatniej szansy” z użyciem produktu Winfuran.