



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Vprašanja in odgovori

Umik vloge za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Winfuran (nalfurafin)

Družba Toray International U.K. Limited je dne 17. januarja 2014 uradno obvestila Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP), da želi umakniti vlogo za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Winfuran, namenjenim zdravljenju hudega uremičnega pruritusa (oblike srbenja) pri bolnikih s končno odpovedjo ledvic, ki potrebujejo dializo.

Kaj je zdravilo Winfuran?

Winfuran je zdravilo, ki vsebuje zdravilno učinkovino nalfurafin. Na voljo naj bi bilo v obliki koncentrata za raztopino za infundiranje v žilo.

Za kaj naj bi se zdravilo Winfuran uporabljalo?

Zdravilo Winfuran naj bi se uporabljalo za zdravljenje bolnikov s hudim uremičnim pruritusom. Uremični pruritus je trdovratna oblika srbenja, ki se pojavi pri nekaterih bolnikih, katerih ledvice ne delujejo pravilno. Zdravilo Winfuran naj bi se uporabljalo pri bolnikih, ki imajo končno odpoved ledvic (stanje, ko ledvice povsem prenehajo delovati) in potrebujejo dializo (postopek odstranjevanja odpadnih snovi iz krvi).

Zdravilo Winfuran je bilo dne 11. septembra 2002 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni) za uremični pruritus. Več informacij je na voljo [tukaj](#).

Kako naj bi zdravilo Winfuran delovalo?

Natančen vzrok uremičnega pruritusa ni znan, vendar se domneva, da je srbenje povezano s čezmerno dejavnostjo določenih receptorjev v možganih in koži, ki jih imenujemo mu-opioidni receptorji. Zdravilo Winfuran aktivira druge opioidne receptorje, imenovane receptorji kapa, ki zavrejo delovanje opioidnih receptorjev in posledično ublažijo srbenje pri bolnikih z uremičnim pruritusom.



Katero dokumentacijo je družba predložila v podporo svoji vlogi?

Učinki zdravila Winfuran so bili najprej preskušeni na poskusnih modelih, nato pa so jih raziskali pri ljudeh.

Učinke zdravila Winfuran so primerjali s placebom (zdravilom brez zdravilne učinkovine) v eni glavni študiji, v kateri je sodelovalo 339 bolnikov z uremičnim pruritustom, ki so potrebovali redno dializo. Glavno merilo učinkovitosti je bila sprememba simptomov, kot sta na primer intenzivnost srbenja in motnje spanca, po 4 tednih zdravljenja, ki so jo določili s standardnim sistemom ocenjevanja.

Kako daleč je bil postopek ocenjevanja vloge ob njenem umiku?

Postopek vrednotenja je bil zaključen in CHMP je izrazil negativno mnenje.

Kakšno je bilo takrat priporočilo CHMP?

Na podlagi pregleda podatkov je odbor v času umika vloge izrazil negativno mnenje in priporočil zavrnitev vloge za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Winfuran za zdravljenje hudega uremičnega pruritusa.

Glavni zadržek odbora CHMP je bil, da koristi zdravila Winfuran pri zdravljenju uremičnega pruritusa niso bile zadovoljivo dokazane. V glavni študiji niso uspeli dokazati, da je zdravilo Winfuran učinkovitejše od placeba pri lajšanju srbenja. Dodatna analiza je sicer pokazala skromne koristi pri podskupini bolnikov s hudo obliko uremičnega pruritusa, vendar je odbor CHMP menil, da klinična pomembnost ni bila dokazana. Zato je CHMP v času umika menil, da koristi zdravila Winfuran ne odtehtajo z njim povezanih tveganj, in zaključil, da na podlagi podatkov, ki jih je predložila družba, zdravila ni mogoče odobriti.

Kakšni so bili razlogi družbe za umik vloge?

Družba je v uradnem dopisu navedla, da se je za umik vloge odločila, ker je odbor CHMP menil, da na podlagi predloženih podatkov ni mogoče zaključiti, da je razmerje med koristmi in tveganji zdravila pozitivno.

Dopis o umiku je na voljo tukaj.

Kakšne so posledice umika za bolnike, ki sodelujejo v kliničnih preskušanjih ali programih sočutne uporabe zdravila?

Družba je odbor CHMP obvestila, da trenutno ne potekajo nobena klinična preskušanja ali programi sočutne uporabe zdravila Winfuran.