



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Frågor och svar

---

# Återkallande av ansökan om godkännande för försäljning av Winfuran (nalfurafin)

Den 17 januari 2014 underrättade Toray International U.K. Limited officiellt kommittén för humanläkemedel (CHMP) om att de önskar återkalla sin ansökan om godkännande för försäljning för Winfuran, som var avsett för behandling av svår uremisk pruritus (en form av klåda) hos patienter med avancerad njurinsufficiens som genomgår dialys.

## Vad är Winfuran?

Winfuran är ett läkemedel som innehåller den aktiva substansen nalfurafin. Det fanns som ett koncentrat för infusionsvätska, lösning, som ges i en ven.

## Vad skulle Winfuran användas för?

Winfuran skulle användas för behandling av patienter med svår uremisk pruritus. Uremisk pruritus är en ihållande form av klåda som uppstår hos vissa patienter vars njurar inte fungerar som de ska. Winfuran skulle ges till patienter med avancerad njurinsufficiens (när njurarna helt slutat fungera) som genomgår dialys (en teknik som används för att avlägsna avfallsprodukter från blodet).

Winfuran klassificerades den 11 september 2002 som ett säräkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) avsett att användas vid uremisk pruritus. För mer information, se [här](#).

## Hur var det tänkt att Winfuran skulle verka?

Trots att den exakta orsaken till uremisk pruritus inte är känd antas klådan vara förbunden med en överaktivitet i vissa receptorer som kallas mu-opioidreceptorer i hjärnan och huden. Winfuran aktiverar olika opioidreceptorer som kallas kappa-receptorer, vilka blockerar mu-opioidreceptorernas aktivitet och därigenom lindrar klådan hos patienter med uremisk pruritus.



## **Vad har företaget lämnat till stöd för sin ansökan?**

Effekterna av Winfuran prövades först i olika experimentmodeller innan de studerades på människor.

Effekterna av Winfuran jämfördes med placebo (overksam behandling) i en huvudstudie på 339 patienter med uremisk pruritus som genomgick regelbunden dialys. Det viktigaste måttet på effekt var förändringen av symtom, såsom klådans intensitet och sömnstörning, efter 4 veckors behandling utifrån ett standardpoängssystem.

## **Hur långt hade utvärderingen kommit när ansökan drogs tillbaka?**

Utvärderingen var avslutad och CHMP hade avgett ett negativt ställningstagande.

## **Vad rekommenderade CHMP vid den tidpunkten?**

Efter att ha gått igenom de inlämnade uppgifterna vid tiden för återkallandet avgav CHMP ett negativt ställningstagande och rekommenderade att ansökan om godkännande för försäljning skulle avslås för Winfuran för behandling av svår uremisk pruritus.

CHMP:s främsta farhåga var att nyttan med Winfuran vid behandlingen av uremisk pruritus inte var tillräckligt påvisad. Huvudstudien kunde inte visa att Winfuran var effektivare än placebo när det gällde lindring av klåda. Trots att en kompletterande analys visade på en måttlig nytta i en subpopulation av patienter med en svår form av uremisk pruritus fann CHMP att den kliniska relevansen inte hade påvisats. Vid tiden för återkallandet ansåg CHMP därför att nyttan med Winfuran inte var större än riskerna och drog slutsatsen att läkemedlet inte skulle ha kunnat godkännas på grundval av de uppgifter som företaget presenterat.

## **Vilka skäl angav företaget till att dra tillbaka sin ansökan?**

I sin officiella skrivelse angav företaget att dess beslut att återkalla ansökan baserades på CHMP:s bedömning att de inlämnade uppgifterna inte gör det möjligt för kommittén att avge ett positivt yttrande om nytta-riskförhållandet.

Skrivelsen om återkallandet finns här.

## **Vilka följder får återkallandet för patienter som deltar i kliniska prövningar eller s.k. compassionate use-program?**

Företaget har informerat CHMP om att inga kliniska prövningar eller s.k. compassionate use-program pågår med Winfuran.