



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

22 de abril de 2022
EMA/219136/2022
EMA/H/C/005433

Retirada de la solicitud de autorización de comercialización de Miplyffa (arimoclomol)

Orphazyme A/S retiró su solicitud de autorización de comercialización de Miplyffa para el tratamiento de la enfermedad de Niemann-Pick de tipo C (NPC) en pacientes a partir de 2 años de edad en combinación con miglustat (otro medicamento para tratar la NPC).

La empresa retiró la solicitud el 22 de marzo de 2022.

¿Qué es Miplyffa y a qué uso estaba destinado?

Miplyffa iba a utilizarse en pacientes a partir de 2 años para tratar la NPC, una enfermedad que pertenece a un grupo de trastornos hereditarios que pertenecen a la familia más amplia de trastornos metabólicos denominados «enfermedades de lisosomosis», en las que las grasas se acumulan dentro de los lisosomas (partes de las células del organismo que descomponen los nutrientes y otros materiales) causados por cambios en dos genes denominados *NPC1* y *NPC2*.

Miplyffa contiene el principio activo arimoclomol e iba a presentarse en cápsulas para tomar por vía oral.

Miplyffa fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 19 de noviembre de 2014 para el tratamiento de la NPC. Puede encontrarse más información sobre la designación de medicamento huérfano en la página web de la Agencia:

ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141376

¿Cómo actúa Miplyffa?

En la NPC, la acumulación de sustancias grasas en los lisosomas reduce su capacidad de funcionamiento normal y hace que la membrana que los rodea sea inestable. El principio activo de Miplyffa, el arimoclomol, está destinado a estimular los mecanismos naturales de la célula para hacer frente a los daños, aumentando la producción de proteínas llamadas proteínas de choque térmico en las células que están bajo estrés. Se cree que estas proteínas ayudan a estabilizar la proteína producida por el gen *NPC1* y la membrana que rodea a los lisosomas, mejorando así la capacidad del lisosoma para funcionar y descomponer determinadas grasas. Se espera que esto evite la acumulación de grasas en los lisosomas y ayude a reducir los síntomas de la enfermedad, que incluyen problemas de comportamiento, discapacidades del aprendizaje y dificultad para moverse y hablar.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



¿Qué documentación presentó la empresa en apoyo de su solicitud?

La empresa presentó los resultados de un estudio principal en el que se examinó la eficacia de Miplyffa para ralentizar la progresión de la enfermedad a lo largo del tiempo. Los resultados se basaron en 50 pacientes de entre 2 y 18 años que recibieron Miplyffa o un placebo (un tratamiento ficticio) durante un año, además de los cuidados clínicos habituales del paciente (incluido miglustat, si procede). La eficacia se midió utilizando una escala estándar (NPCCSS de 5 dominios) en la que se registró la gravedad de los síntomas a lo largo del tiempo.

La empresa también presentó datos de un programa de acceso temprano (PAE) en el que Miplyffa se administró con o sin miglustat.

¿En qué fase se encontraba la evaluación de la solicitud cuando fue retirada?

La solicitud fue retirada después de que la Agencia Europea de Medicamentos hubiera evaluado la documentación presentada por la empresa y formulado listas de preguntas. Una vez que la Agencia hubo evaluado las respuestas de la empresa a la última serie de preguntas, aún quedaban algunas cuestiones sin resolver.

¿Qué recomendaba la Agencia en ese momento?

Estudiada la información disponible, en el momento de la retirada la Agencia tenía reservas y mantenía provisionalmente la opinión de que Miplyffa no hubiera podido aprobarse para el tratamiento de la NPC.

La Agencia consideró que los resultados del estudio no demostraban suficientemente que Miplyffa fuera eficaz para mejorar los síntomas relacionados con la NPC o para retrasar la progresión de la enfermedad, ni a corto ni a largo plazo (al cabo de un año o más). En particular, la Agencia tenía reservas sobre la forma en que se proponía interpretar los resultados del estudio. Además, no se confirmaron los beneficios de añadir Miplyffa a miglustat.

Por consiguiente, en el momento de la retirada, la Agencia no pudo extraer una conclusión positiva sobre la eficacia de Miplyffa en el tratamiento de la NPC y consideró que los beneficios de Miplyffa en este uso no superaban a los riesgos.

¿Cuáles fueron las razones aducidas por la empresa para retirar su solicitud?

En el [escrito](#) en el que notificaba a la Agencia la retirada de su solicitud, la empresa declaró que la retirada se hacía a raíz de las reservas de la EMA y de su estimación de que no se podían abordar en el plazo disponible.

¿Qué consecuencias tiene esta retirada para los pacientes que participan en los ensayos clínicos o programas de uso compasivo?

La empresa informó a la Agencia de que no hay consecuencias para los pacientes que participan en ensayos clínicos con Miplyffa.

Si participa usted en un ensayo clínico y precisa información adicional acerca de su tratamiento, hable con el médico (que está) a cargo del ensayo clínico.