



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

18 de septiembre de 2020
EMA/529853/2020
EMA/H/C/5004

Retirada de la solicitud de autorización de comercialización de Upkanz (deferiprona)

Apotex B.V. ha retirado su solicitud de comercialización de Upkanz para el tratamiento de la neurodegeneración asociada a la kinasa pantotenato.

La empresa retiró la solicitud el martes 10 de agosto de 2020.

¿Qué es Upkanz y a qué uso estaba destinado?

Upkanz se desarrolló como medicamento para la neurodegeneración asociada a pantotenato quinasa (PKAN), una enfermedad hereditaria rara que provoca un daño creciente en el cerebro y puede dar lugar a enfermedades como la distonía (movimientos musculares incontrolables), Parkinson y demencia. Los primeros signos de la enfermedad aparecen en la infancia.

Upkanz contiene el principio activo deferiprona e iba a presentarse como líquido de administración por vía oral.

Upkanz fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el jueves 27 de junio de 2018 para el tratamiento de la neurodegeneración con acumulación de hierro. Puede encontrarse más información sobre la designación de medicamento huérfano en la página web de la Agencia: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3182034.

¿Cómo actúa Upkanz?

En los pacientes aquejados de PKAN, hay una acumulación de hierro en ciertas partes del cerebro, incluidas las relacionadas con el control del movimiento. Esta acumulación excesiva de hierro da lugar a daños. La deferiprona, el principio activo del Upkanz, es un quelante de hierro, lo que significa que se fija al hierro del cuerpo. Esto evita que el hierro cause daños y permite su eliminación corporal, normalmente mediante la orina. Se esperaba que la deferiprona entrase en el cerebro y evitase la acumulación de hierro en las células cerebrales, reduciendo así los daños cerebrales.

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 donde participaban 89 pacientes desde los 4 años de edad, aquejados de PKAN. El estudio comparaba los cambios en la gravedad de la distonía en pacientes que habían recibido Upkanz frente a los que recibieron placebo (un tratamiento ficticio).

¿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. La empresa no había respondido a la última serie de preguntas en el momento de la retirada.

¿Qué recomendaba la Agencia en ese momento?

Estudiada la documentación y las respuestas de la empresa a la lista de preguntas de la Agencia, en el momento de la retirada la Agencia tenía reservas y, provisionalmente, consideraba que Upkanz no hubiera podido aprobarse para el tratamiento de la PKAN. En particular, la Agencia estaba preocupada porque el estudio principal no mostraba con claridad que el medicamento fuera efectivo.

Por consiguiente, en el momento de la retirada, la Agencia estimaba que no se había demostrado la eficacia y que los beneficios de Upkanz no superaban a los riesgos.

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

En su [carta](#) notificando a la Agencia la retirada de la solicitud, la empresa afirmó que, tras la transferencia de la medicina a otra empresa, su desarrollo y su comercialización eran objeto de reevaluación.

¿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 actualmente participan en ensayos clínicos o programas de uso compasivo con Upkanz.