

24 de marzo de 2017
EMA/192276/2017
EMA/H/C/004193

Preguntas y respuestas

Retirada de la solicitud de autorización de comercialización de Enpaxiq (pacritinib)

El 20 de febrero de 2017, CTI BioPharma notificó oficialmente al Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) que deseaba retirar su solicitud de autorización de comercialización de Enpaxiq para el tratamiento de los pacientes con esplenomegalia (aumento del tamaño del bazo) u otros síntomas de mielofibrosis.

¿Qué es Enpaxiq?

Enpaxiq es un medicamento que contiene el principio activo pacritinib. Iba a presentarse en cápsulas para tomar por vía oral.

¿A qué uso estaba destinado Enpaxiq?

Enpaxiq iba a utilizarse para tratar a pacientes con esplenomegalia u otros síntomas de mielofibrosis, un trastorno en el que se acumula tejido cicatricial en la médula ósea, el lugar donde se producen las células sanguíneas.

Enpaxiq fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 25 de agosto de 2010 para distintos tipos de mielofibrosis. Puede encontrarse más información sobre la designación de medicamento huérfano [aquí](#).

¿Cómo actúa Enpaxiq?

El principio activo de Enpaxiq, el pacritinib, bloquea la acción de JAK2 y FLT3, dos proteínas que intervienen en la producción y el crecimiento de las células sanguíneas. Los pacientes con mielofibrosis tienen una cantidad excesiva de estas proteínas, de forma que se producen células sanguíneas inmaduras, algunas de las cuales migran a órganos como el bazo y provocan un aumento del tamaño.

Al bloquear estas proteínas, se esperaba que Enpaxiq frenase la producción de células sanguíneas inmaduras y ayudara con ello a reducir los síntomas de la enfermedad.

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

La empresa presentó datos de un estudio principal realizado en 327 pacientes con mielofibrosis en el que se determinó el número de pacientes con una disminución del tamaño del bazo de al menos el 35 % después de 24 semanas de tratamiento. En el estudio se comparó Enpaxiq con el «mejor tratamiento disponible», que incluía tratamientos que no actúan sobre las proteínas JAK como la hidroxiurea o medidas de apoyo.

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

La solicitud fue retirada después de que el CHMP hubiese evaluado la documentación inicial facilitada por la empresa y formulado una lista de preguntas. La empresa no había respondido aún a las preguntas en el momento de la retirada.

¿Qué recomendaba el CHMP en ese momento?

En el momento de la retirada el CHMP mantenía provisionalmente la opinión de que Enpaxiq no hubiera podido aprobarse para la mielofibrosis.

El Comité tenía una serie de reservas: la disminución del tamaño del bazo, el criterio principal de valoración de la eficacia en el estudio, era aparentemente menor con Enpaxiq que con otro medicamento de su misma clase, sin que se apreciara ninguna mejora en las puntuaciones de los síntomas; la incidencia de un recuento bajo de plaquetas (una posible causa de hemorragias) era mayor en los pacientes tratados con Enpaxiq; y el número de muertes ocurridas era mayor en los pacientes que recibieron Enpaxiq que en los que recibieron el mejor tratamiento disponible, incluidas las muertes debidas a hemorragias y a efectos en el corazón.

Además, el CHMP consideró que se necesitaba más información sobre los materiales de partida utilizados en la fabricación de Enpaxiq y su modo de actuar sobre ciertas proteínas diana en el organismo.

Con estas reservas, el Comité estimaba que no se había demostrado que los beneficios de Enpaxiq superaran 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 se procedía a la retirada porque no había tiempo suficiente en el procedimiento de solicitud en curso para presentar datos nuevos de un segundo estudio principal con Enpaxiq. La empresa declaró que su intención era integrar los nuevos datos del estudio en su expediente actual antes de dirigirse a la EMA para presentar una nueva solicitud. El escrito de retirada puede encontrarse [aquí](#)

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

La empresa informó al CHMP de que no hay consecuencias para los pacientes que actualmente participan en ensayos clínicos o programas de uso compasivo con Enpaxiq.

Si participa usted en un ensayo clínico o programa de uso compasivo y precisa información adicional acerca de su tratamiento, póngase en contacto con el médico que le administra el medicamento.