



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

18. september 2020
EMA/529854/2020
EMA/H/C/5004

Müügiloo taotluse tagasivõtmise teave: Upkanz (deferiproon)

Apotex B.V. võttis tagasi Upkanzi müügiloo taotluse. Ravimit kavatseti kasutada pantotenaadi kinaasiga seotud neurodegeneratsiooni raviks.

Ettevõtte võttis taotluse tagasi 10. augustil 2020.

Mis on Upkanz ja milleks kavatseti seda kasutada?

Upkanz töötati välja ravimina pantotenaadi kinaasiga seotud neurodegeneratsiooni (PKAN) raviks. See on harvaesinev pärilik haigus, mis põhjustab süvenevaid ajukahjustusi ning mille tagajärjel võivad tekkida sellised seisundid nagu düstoonia (tahtmatud lihaseliigutused), parkinsonism ja dementsus. Haiguse esimesed nähud ilmnevad lapseas.

Upkanz sisaldab toimeainet deferiprooni ja seda kavatseti turustada suukaudse vedelikuna.

Upkanz nimetati 27. juunil 2018 raua ajusse ladestumisega kulgeva neurodegeneratsiooni harvikravimiks (ravim, mida kasutatakse harvaesinevate haiguste korral). Harvikravimiks nimetamise lisateave on ameti veebilehel: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3182034.

Kuidas Upkanz toimib?

Pantotenaadi kinaasiga seotud neurodegeneratsiooniga patsientidel ladestub raud eri ajupiirkondadesse, sealhulgas neisse, mis juhivad liigutusi. Liigne raud põhjustab kahjustusi. Upkanzi toimeaine deferiproon on rauakelaator ehk aine, mis seondub organismis rauaga. See peatab raua põhjustatud kahjustuste tekke ning võimaldab seda organismist väljutada, peamiselt uriiniga. Eeldati, et deferiproon siseneb ajju ning aitab ennetada raua ladestumist ajurakkudes ning seega vähendada ajukahjustust.

Mis dokumendid esitas ettevõtte oma taotluse toetuseks?

Ettevõtte esitas tulemused põhiuuringust, milles osales 89 pantotenaadi kinaasiga seotud neurodegeneratsiooniga vähemalt 4-aastast patsienti. Uuringus võrreldi düstoonia raskuse muutusi patsientidel, kes kasutasid Upkanzi ja platseebot (näib ravim).

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



Mis järgus oli taotluse hindamine, kui see tagasi võeti?

Taotlus võeti tagasi pärast seda, kui Euroopa Ravimiamet oli hinnanud ettevõtte esitatud teavet ja koostanud ettevõttele vastamiseks küsimused. Ettevõtte ei olnud taotluse tagasivõtmise ajaks viimastele küsimustele veel vastanud.

Mis oli sel ajal ameti soovitus?

Tuginedes esitatud andmete analüüsile ja ettevõtte vastustele ameti esitatud küsimustele, nägi amet taotluse tagasivõtmise ajal põhjust ettevaatlikkuseks ja oli esialgsel seisukohal, et Upkanzi kasutamist pantotenaadi kinaasiga seotud neurodegeneratsiooni raviks ei ole võimalik heaks kiita. Amet pidas probleemiks, et põhiuuring ei olnud selgelt tõendanud ravimi efektiivsust.

Taotluse tagasivõtmise ajal oli amet arvamusel, et tõendamata efektiivsuse tõttu ei ole Upkanzi kasulikkus suurem kui sellega kaasnevad riskid.

Mis põhjustel võttis ettevõtte taotluse tagasi?

Ettevõtte [kirjas](#), milles ta teatab Euroopa Ravimiametile oma taotluse tagasivõtmisest, märgib ettevõtte, et pärast ravimi edastamist teisele ettevõttele on selle arendamine ja turundamine taashindamisel.

Kuidas mõjutab tagasivõtmine praegu kliinilistes uuringutes või eriloaga kasutamise programmides osalevaid patsiente?

Ettevõtte teatas ametile, et tagasivõtmine ei mõjuta Upkanzi kliinilistes uuringutes või eriloaga kasutamise programmides osalevaid patsiente.