



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

16. detsember 2022
EMA/913652/2022
EMA/H/C/005869

Müügiloa taotluse tagasivõtmise teave: Imbarkyd (bardoksoloon)

Reata Ireland Limited võttis tagasi ravimi Imbarkyd müügiloa taotluse. Ravim oli näidustatud Alporti sündroomi põhjustatud kroonilise neeruhaiguse raviks täiskasvanutel ja vähemalt 12-aastastel lastel.

Ettevõtte võttis taotluse tagasi 9. novembril 2022.

Mis on Imbarkyd ja milleks kavatsesi seda kasutada?

Imbarkyd töötati välja Alporti sündroomi põhjustatud kroonilise neeruhaiguse ravimina. See oli ette nähtud täiskasvanutele ja vähemalt 12-aastastele lastele.

Imbarkyd sisaldab toimeainena metüülbardoksolooni ja seda kavatsesi turustada suukaudsete kapslitena.

Imbarkyd nimetati 25. mail 2018 Alporti sündroomi põhjustatud kroonilise neeruhaiguse harvkravimiks (ravim, mida kasutatakse harvaesinevate haiguste korral). Lisateave harvkravimiks nimetatud ravimi kohta on ameti veebilehel: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3182019.

Kuidas Imbarkyd toimib?

Imbarkydi toimeaine bardoksoloon aktiveerib transkriptsioonifaktori Nrf2, mis on põletikuprotsessis osalevaid teatud geene reguleeriv valk. Nrf2 aktiivsus on sageli muutunud patsientidel, kellel on Alporti sündroomi põhjustatud krooniline neeruhaigus. Seepärast eeldati, et Imbarkyd taastab neerutalitluse ja leevendab patsientide sümptomeid.

Mis dokumendid esitas ettevõtte oma taotluse toetuseks?

Ettevõtte esitas tulemused põhiuuringust, milles osales 157 patsienti, kellel oli Alporti sündroomi põhjustatud kerge kuni mõõdukas krooniline neeruhaigus. Uuringus vaadeldi glomerulaarfiltratsiooni hinnangulist kiirust, mis näitab, kui hästi neerud töötavad. Imbarkyd-ravi võrreldi platseeboga (näiv 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 müügiloo taotluse hindamine, kui see tagasi võeti?

Taotlus võeti tagasi pärast seda, kui Euroopa Ravimiamet oli hinnanud ettevõtte esitatud teavet ja koostanud ettevõttele vastamiseks küsimused. Amet oli ettevõttele esitatud viimaste küsimuste vastused läbi vaadanud, kuid mõni probleem oli veel lahendamata.

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 Imbarkydi kasutamist Alporti sündroomi põhjustatud kroonilise neeruhaiguse raviks ei ole võimalik heaks kiita.

Taotleja esitatud andmetest ei selgu, kuidas laguneb bardoksolooni organismis ja kas ravimi lõppsaadus võib mõjutada patsientide tervist. Uuring ei tõendanud veenvalt bardoksolooni püsivat kasulikku toimet Alporti sündroomiga patsientide neerutalitlusele ning probleemiks peeti võimalikku negatiivset mõju neeru- ja südamefunktsioonidele.

Seetõttu oli amet müügiloo taotluse tagasivõtmise ajal arvamusel, et Imbarkydi kasulikkus ei ole suurem kui sellega kaasnevad riskid.

Mis põhjustel võttis ettevõtte taotluse tagasi?

Ettevõtte [kirjas](#), milles ta teatab Euroopa Ravimiametile oma taotluse tagasivõtmisest, märgib ettevõtte, et võttis taotluse tagasi, sest ameti arvates ei võimalda esitatud andmed praegu järeldada positiivset kasulikkuse ja riski suhet.

Kas tagasivõtmine mõjutab praegu kliinilistes uuringutes osalevaid patsiente?

Ettevõtte teatas Euroopa Ravimiametile, et taotluse tagasivõtmine ei mõjuta praegu Imbarkydi kliinilistes uuringutes osalevaid patsiente.

Kui osalete ravimi kliinilises uuringus ja vajate ravi kohta lisateavet, rääkige kliinilise uuringu arstiga.