



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

18. syyskuuta 2020
EMA/529856/2020
EMA/H/C/5004

Upkanzia (deferiproni) koskevan myyntilupahakemuksen peruuttaminen

Apotex B.V. peruutti pantotenaattikinaasiin liittyvän neurodegeneraation hoitoon tarkoitettua Upkanz-lääkevalmistetta koskevan myyntilupahakemuksensa.

Yhtiö peruutti hakemuksen 10. elokuuta 2020.

Mitä Upkanz on ja mihin sitä oli tarkoitus käyttää?

Upkanz kehitettiin pantotenaattikinaasiin liittyvän neurodegeneraation (PKAN) hoitoon tarkoitetuksi lääkkeeksi. PKAN on harvinainen perinnöllinen sairaus, joka aiheuttaa ajan myötä lisääntyviä vaurioita aivoihin, ja se voi johtaa esimerkiksi dystonian (hallitsemattomat lihasten liikkeet), parkinsonismin ja dementian kaltaisiin sairauksiin. Ensimmäiset merkit sairaudesta kehittyvät jo lapsuudessa.

Upkanzin vaikuttava aine on deferiproni, ja valmistetta oli määrä olla saatavana suun kautta otettavana nesteinä.

Upkanz nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisissa sairauksissa käytettävä lääke) 27. kesäkuuta 2018 sellaisen neurodegeneraation hoitoa varten, johon liittyy raudan kertyminen aivoihin. Lisätietoja harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on viraston verkkosivuilla:

ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3182034.

Miten Upkanz vaikuttaa?

PKAN-potilailla kertyy rautaa joihinkin aivojen osiin, muun muassa niihin, joilla hallitaan liikkeitä. Liiallinen määrä rautaa aiheuttaa vaurioita. Deferiproni, Upkanzin vaikuttava aine, on rautaa kelatoiva aine, eli se sitoutuu elimistössä olevaan rautaan. Tämä lopettaa raudasta aiheutuvien vaurioiden kehittymisen, ja rauta pääsee poistumaan elimistöstä pääasiassa virtsan kautta. Deferipronin oletettiin kulkeutuvan aivoihin ja auttavan ehkäisemään raudan kertymistä aivosoluihin ja vähentävän siten aivovaurioita.

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



© European Medicines Agency, 2020. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?

Yhtiö esitti tulokset päätutkimuksesta, johon osallistui 89 vähintään neljävuotiasta PKAN-potilasta. Tutkimuksessa tarkasteltiin dystonian vaikeusasteessa tapahtuneita muutoksia Upkanzia saaneilla potilailla lumelääkettä saaneisiin potilaisiin verrattuna.

Miten pitkällä hakemuksen arviointi oli, kun se peruutettiin?

Hakemus peruutettiin sen jälkeen, kun Euroopan lääkevirasto oli arvioinut yhtiön toimittamat tiedot ja laatinut luettelon kysymyksistä. Yhtiö ei ollut vastannut viimeisiin kysymyksiin, kun hakemus peruutettiin.

Mikä oli viraston suositus tuolloin?

Virasto suhtautui saamiensa tietojen ja yhtiön kysymysluetteloon antamien vastausten tarkastelun perusteella varauksellisesti joihinkin seikkoihin hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, ja sen alustava kanta oli, ettei Upkanzia olisi voitu hyväksyä PKANin hoitoon. Virasto katsoi eritoten, ettei lääkevalmisteen tehoa ollut osoitettu päätutkimuksessa selvästi.

Siksi virasto katsoi hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, ettei Upkanzista saatava hyöty ole sen riskejä suurempi, koska sen tehoa ei voitu osoittaa.

Mistä syistä yhtiö peruutti hakemuksen?

[Kirjeessään](#), jossa yhtiö ilmoittaa virastolle hakemuksen peruuttamisesta, se toteaa, että lääke on siirretty toiselle yhtiölle ja että sen kehittämistä ja markkinointia arvioitiin parhaillaan uudelleen.

Vaikuttaako tämä hakemuksen peruuttaminen kliinisiin tutkimuksiin tai erityiskäyttöohjelmiin osallistuviin potilaisiin?

Yhtiö ilmoitti virastolle, ettei päätöksellä ole mitään seurauksia Upkanzin kliinisiin tutkimuksiin tai erityiskäyttöohjelmiin osallistuville potilaille.