



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Imbarkydia (bardoksoloni) koskevan myyntilupahakemuksen peruuttaminen

Reata Ireland Limited peruutti Imbarkyd-lääkevalmistetta koskevan myyntilupahakemuksensa. Imbarkyd oli tarkoitettu Alportin oireyhtymän aiheuttaman kroonisen munuaistaudin hoitoon aikuisilla ja vähintään 12-vuotiailla lapsilla.

Yhtiö peruutti hakemuksen 9. marraskuuta 2022.

### Mitä Imbarkyd on ja mihin sitä oli tarkoitus käyttää?

Imbarkyd kehitettiin lääkkeeksi Alportin oireyhtymän aiheuttamaan krooniseen munuaissairauteen. Se oli tarkoitettu aikuisille ja vähintään 12-vuotiaille lapsille.

Imbarkydin vaikuttava aine on bardoksolonimetyyli, ja sitä oli määrä olla saatavana suun kautta otettavina kapseleina.

Imbarkyd nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisissa sairauksissa käytettävä lääke) 25. toukokuuta 2018 Alportin oireyhtymän aiheuttaman kroonisen munuaistaudin hoitoon. Lisätietoja harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on viraston verkkosivuilla:  
[ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3182019](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3182019).

### Miten Imbarkyd vaikuttaa?

Imbarkydin vaikuttava aine bardoksolonimetyyli aktivoi transkriptiotekijä Nrf2:ta, joka säätelee tiettyjen tulehdukseen osallistuvien geenien toimintaa. Nrf2:n aktiivisuus on usein muuttunut potilailla, joilla on Alportin oireyhtymän aiheuttama krooninen munuaissairaus. Siksi Imbarkydin odotettiin parantavan munuaisten toimintaa ja lievittävän potilaiden oireita.

### Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?

Yhtiö esitti tulokset päätutkimuksesta, johon osallistui 157 potilasta, joilla oli Alportin oireyhtymän aiheuttama lievä tai keskivaikea krooninen munuaissairaus. Tutkimuksessa tarkasteltiin arvioitua glomerulusten suodatusnopeutta, joka mittaa munuaisten toimintaa. Imbarkyd-hoitoa verrattiin lumelääkkeeseen.

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



## **Miten pitkällä hakemuksen arviointi oli, kun se peruutettiin?**

Hakemus peruutettiin sen jälkeen, kun Euroopan lääkevirasto oli arvioinut yhtiön toimittamat tiedot ja laatinut luettelon kysymyksistä. Kun virasto oli arvioinut yhtiön viimeisiin kysymyksiin antamat vastaukset, joitakin seikkoja oli vielä selvittämättä.

## **Mikä oli viraston suositus tuolloin?**

Virasto suhtautui saamiensa tietojen ja lääkeyhtiön kysymysluetteloon antamien vastausten tarkastelun perusteella varauksellisesti joihinkin seikkoihin hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, ja sen alustava kanta oli, että Imbarkydia ei olisi voitu hyväksyä Alportin oireyhtymän aiheuttaman kroonisen munuaistaudin hoitoon.

Hakijan toimittamien tietojen perusteella oli epäselvää, miten bardoksoloni hajoaa elimistössä ja voivatko lääkkeen lopputuotteet vaikuttaa potilaiden terveyteen. Tutkimuksessa ei pystytty osoittamaan vakuuttavasti, että bardoksolonilla olisi pitkäaikainen suotuista vaikutus munuaisten toimintaan Alportin oireyhtymää sairastavilla potilailla. Huolenaiheita herättivät myös mahdolliset kielteiset vaikutukset munuaisten ja sydämen toimintaan.

Siksi virasto katsoi hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, että Imbarkyd-valmisteesta saatava hyöty ei ole sen riskenä suurempi.

## **Mistä syistä yhtiö peruutti hakemuksen?**

[Kirjeessään](#), jossa yhtiö ilmoittaa virastolle hakemuksen peruuttamisesta, se totesi peruuttamisen syyksi viraston näkemyksen siitä, ettei toimitettujen tietojen perusteella voida tällä hetkellä päätellä, että hyöty-riskisuhde olisi suotuista.

## **Mitä seurauksia tämän hakemuksen peruuttamisesta on kliinisiin tutkimuksiin osallistuvilla potilaille?**

Yhtiö ilmoitti lääkevalmistekomitealle, että peruuttamisesta ei ole mitään seurauksia potilaille, jotka osallistuvat Imbarkydia koskeviin kliinisiin tutkimuksiin.

Jos olet mukana kliinisessä tutkimuksessa ja tarvitset lisätietoa hoidostasi, ota yhteyttä kliinisen tutkimuksen lääkäriin.