

24. ožujak 2017.
EMA/192276/2017
EMA/H/C/004193

Pitanja i odgovori

Povlačenje zahtjeva za izdavanje odobrenja za stavljanje u promet lijeka Enpaxiq (pakritinib)

Tvrtka CTI BioPharma 20. veljače 2017. službeno je obavijestila Odbor za lijekove za humanu uporabu (CHMP) da želi povući svoj zahtjev za odobrenje za stavljanje u promet lijeka Enpaxiq za liječenje bolesnika s povećanom slezenom ili drugim simptomima mijelofibroze.

Što je Enpaxiq?

Enpaxiq je lijek koji sadrži djelatnu tvar pakritinib. Dostupan je u obliku kapsula koje se uzimaju na usta.

Za što se lijek Enpaxiq trebao koristiti?

Enpaxiq se trebao koristiti za liječenje bolesnika s povećanom slezenom ili drugim simptomima mijelofibroze, poremećaja u kojem se fibrozno tkivo nakuplja u koštanoj srži gdje se proizvode krvne stanice.

Enpaxiq je 25. kolovoza 2010. označen kao lijek za rijetku bolest za liječenje različitih vrsta mijelofibroze. Dodatne informacije o oznakama za lijekove za rijetke bolesti mogu se pronaći [ovdje](#).

Kako djeluje Enpaxiq?

Pakritinib, djelatna tvar u lijeku Enpaxiq blokira djelovanje proteina JAK2 i FLT3 koji su uključeni u proizvodnju i rast krvnih stanica. Bolesnici koji boluju od mijelofibroze imaju previše tih proteina koji uzrokuju proizvodnju nezrelih krvnih stanica od kojih neke prelaze u organe kao što je slezena te uzrokuje povećanje tih organa. Očekuje se da će Enpaxiq blokiranjem tih proteina usporiti proizvodnju nezrelih krvnih stranica i na taj način pomoću u smanjivanju simptoma bolesti.

Što je tvrtka dostavila u prilog svom zahtjevu?

Tvrtka je predstavila podatke iz glavnog ispitivanja na 327 bolesnika s mijelofibrozaom u kojem se istraživao broj bolesnika čija se veličina slezene smanjila za najmanje 35 % nakon 24 tjedna liječenja. U ispitivanju je Enpaxiq uspoređen s „najboljim mogućim liječenjem“ koje je uključivalo liječenje koje ne utječu na JAK proteine, kao što su hidroksiurea ili suportivnu terapiju.

U kojoj je fazi bila procjena zahtjeva kada je povučen?

Zahtjev je povučen nakon što je CHMP procijenio inicijalnu dokumentaciju koju je tvrtka dostavila i sastavio popis pitanja. U trenutku povlačenja tvrtka još nije bila dostavila svoje odgovore na pitanja.

Kakva je bila preporuka CHMP-a u tom trenutku?

U vrijeme povlačenja zahtjeva, CHMP je donio privremeno mišljenje o tome da se Enpaxiq ne može odobriti za liječenje mijelofibroze.

Odbor je izrazio zabrinutost u pogledu mnogih stvari: pokazalo se da je smanjenje veličine slezene, glavna mjera djelotvornosti u ispitivanju, bilo manje tijekom liječenja lijekom Enpaxiq nego tijekom liječenja drugim lijekovima iz istog razreda te je ustanovljeno da nije bilo poboljšanja u ocjeni simptoma; učestalost niskih razina trombocita u krvi (koji mogu uzrokovati krvarenje) bila je veća kod bolesnika koji su primali Enpaxiq; prijavljen je veći broj smrtnih slučajeva kod bolesnika koji su primali Enpaxiq nego kod bolesnika koji su primali najbolje moguće liječenje, uključujući smrtne slučajeve uzrokovane krvarenjem i utjecajima na srce.

Štoviše, CHMP primijetio je da je potrebno više informacija o materijalima koji su korišteni u proizvodnji lijeka Enpaxiq i o tome kako djeluje na određene ciljane proteine u tijelu.

Uzimajući u obzir te zabrinutosti, Odbor je smatrao da koristi lijeka Enpaxiq ne nadmašuju njegove rizike.

Koje je razloge za povlačenje zahtjeva navela tvrtka?

Tvrtka je u svojem pismu Agenciji izjavila da povlači zahtjev jer u trenutačnom postupku zahtjeva nema dovoljno vremena za podnošenje novih podataka iz drugog glavnog ispitivanja lijeka Enpaxiq. Tvrtka je izjavila da nove podatke iz ispitivanja namjerava unijeti u trenutačni dosje prije nego što se obrati EMA-i u vezi s novim zahtjevom. Dopis o povlačenju dostupan je [ovdje](#).

Koje posljedice ima ovo povlačenje zahtjeva za bolesnike u kliničkim ispitivanjima ili u programima milosrdnog davanja lijekova?

Tvrtka je obavijestila CHMP da nema posljedica za bolesnike koji su u ovom trenutku uključeni u klinička ispitivanja u kojima se koristi lijek Enpaxiq ili u programe milosrdnog davanja lijeka Enpaxiq.

Ako sudjelujete u kliničkom ispitivanju ili u programu milosrdnog davanja lijeka i trebate više informacija o liječenju, obratite se liječniku koji provodi liječenje.