



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2020. szeptember 18.
EMA/529859/2020
EMA/H/C/5004

Az Upkanz-ra (deferipron) vonatkozó forgalomba hozatali engedély iránti kérelem visszavonása

Az Apotex B.V. visszavonta a pantotenát-kinázhoz társuló neurodegeneráció kezelésére szánt Upkanz forgalomba hozatali engedélye iránti kérelmét.

A vállalat 2020. augusztus 10-én vonta vissza a kérelmet.

Milyen típusú gyógyszer az Upkanz és milyen alkalmazásra szánták?

Az Upkanz-ot a pantotenát-kinázhoz társuló neurodegeneráció (PKAN) kezelésére fejlesztették ki. Ez egy ritka örökletes betegség, amely növekvő károsodást okoz az agyban, és olyan állapotokhoz vezethet, mint például a disztónia (kontrollálatlan izommozgás), parkinsonizmus és demencia. A betegség első jelei gyermekkorban alakulnak ki.

Az Upkanz hatóanyaga a deferipron, és szájon át alkalmazandó folyadék formájában állt volna rendelkezésre.

Az Upkanz-ot 2018. június 27-én a neurodegeneráció agyi vasfelhalmozódással tekintetében „ritka betegség elleni gyógyszerre” minősítették. A ritka betegség elleni gyógyszerre minősítésről további információ az Ügynökség honlapján található: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3182034.

Hogyan fejti ki hatását az Upkanz?

A PKAN-ban szenvedő betegeknél vas halmozódik fel az agy egyes részein, beleértve a mozgásszabályozásban szerepet játszó területeket is. Ez a túlzott vasmennyiség károsodást eredményez. Az Upkanz hatóanyaga, a deferipron egy vaskelátor, ami azt jelenti, hogy hozzákötődik a szervezetben található vashoz. Ez megakadályozza a vas okozta károsodás kialakulását és lehetővé teszi annak kiürülését a szervezetből, főként a vizelettel. A deferiprontól azt várták, hogy az agyba jutva segít megakadályozni a vas felhalmozódását az agy sejtjeiben, és így mérsékelte volna az agyi károsodást.



Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a kérelem alátámasztására?

A vállalat egy fő vizsgálat eredményeit nyújtotta be, amelyben 89 PKAN-ban szenvedő, 4 éves vagy annál idősebb beteg vett részt. A vizsgálatban azt hasonlították össze, hogy miként változott a disztónia súlyossága az Upkanz-ot kapó betegekénél, illetve a placebót (hatóanyag nélküli kezelést) kapóknál.

A visszavonás előtt meddig jutott el a kérelem az elbírálási folyamatban?

A kérelmet azt követően vonták vissza, hogy az Európai Gyógyszerügynökség már értékelte a vállalat által benyújtott információt, és kidolgozott egy kérdéslistát. A vállalat a visszavonás időpontjában még nem válaszolt az utolsó kérdéssorra.

Mit tartalmazott az Ügynökség ajánlása az adott időpontban?

A visszavonás időpontjában az adatok és a vállalat által az Ügynökség kérdéseire adott válaszok áttekintése alapján az Ügynökség részéről néhány aggály merült fel, és az volt az ideiglenes véleménye, hogy az Upkanz alkalmazása nem engedélyezhető a PKAN kezelésére. Nevezetesen az Ügynökség azt vélte aggályosnak, hogy a fő vizsgálat nem bizonyította egyértelműen a gyógyszer hatásosságát.

Ezért a visszavonás időpontjában az Ügynökség meglátása szerint az Upkanz előnyei az igazolt hatásosság hiánya miatt nem haladták meg a kockázatokat.

Mivel indokolta a vállalat a kérelem visszavonását?

Az Ügynökséget a kérelem visszavonásáról értesítő [levelében](#) a vállalat úgy nyilatkozott, hogy miután a gyógyszert átadták egy másik vállalatnak, jelenleg újraértékelik a fejlesztését és a forgalomba hozatalát.

Milyen következményekkel jár a visszavonás azokra a betegekre nézve, akik részt vesznek klinikai vizsgálatokban vagy engedélyezés előtti kezelési programokban?

A vállalat tájékoztatta az Ügynökséget, hogy a visszavonásnak az Upkanz-zal végzett klinikai vizsgálatokban vagy engedélyezés előtti kezelési programokban jelenleg részt vevő betegekre nézve nincsenek következményei.