

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

Kérdések és válaszok

Az Enpaxiq-ra (pacritinib) vonatkozó forgalomba hozatali engedély iránti kérelem visszavonása

2017. február 20-án a CTI BioPharma hivatalosan értesítette az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottságát (CHMP), hogy vissza kívánja vonni a lép megnagyobbodásának, illetve a mielofibrózis egyéb tüneteinek kezelésére szánt Enpaxiq-ra vonatkozó forgalomba hozatali engedély iránti kérelmét.

Milyen típusú gyógyszer az Enpaxiq?

Az Enpaxiq olyan gyógyszer, amely hatóanyagként pacritinibet tartalmaz. Szájon át adható kapszula formájában kívánták forgalomba hozni.

Milyen alkalmazásra szánták az Enpaxiq-et?

Az Enpaxiq-et lépnagyobbodásban, illetve a mielofibrózis egyéb tüneteiben szenvedő betegek kezelésére szánták. Ennél a betegségnél hegszövet alakul ki a csontvelőben, ahol a vörsejtek termelődnek.

Az Enpaxiq-et 2010. augusztus 25-én a(z) mielofibrózis különböző típusainak tekintetében „ritka betegség elleni gyógyszerre” minősítették. A ritka betegség elleni gyógyszerre minősítésről további információ [itt](#) található.

Hogyan fejti ki hatását a Enpaxiq?

Az Enpaxiq hatóanyaga, a pacritinib, a JAK2 és az FLT3 hatását gátolja, amelyek a vörsejtek termelődésében és növekedésében részt vevő fehérjék. Mielofibrózis esetén a betegekben túl sok ilyen fehérje van jelen, ami éretlen vörsejtek termeléséhez vezet. Ezek némelyike a szervekbe, például a

lépbe vándorol, és azok megnagyobbodását okozza. A fehérvérsejt gátlása révén az Enpaxiq várhatóan lassítja az éretlen vörösvérsejt termelődését, ezáltal hozzájárul a betegség tüneteinek csökkentéséhez.

Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a kérelem alátámasztására?

A vállalat egy 327, mielofibrózisban szenvedő beteggel végzett fő vizsgálatból származó adatokat mutatott be, amelyben azoknak a betegeknek a számát határozták meg, akiknél a lép mérete legalább 35%-kal csökkent a 24 hetes kezelést követően. A vizsgálatban az Enpaxiq-et a „legjobb rendelkezésre álló terápiával” hasonlították össze, amely olyan kezeléseket foglalt magába, amelyek nem hatnak a JAK fehérvérsejtekre, mint például a hidroxikortizon vagy a támogató kezelés.

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

A kérelmet azt követően vonták vissza, hogy a CHMP már értékelte a vállalat által eredetileg benyújtott dokumentációt, és kidolgozott egy kérdéslistát. A vállalat a visszavonás időpontjában még nem válaszolt a kérdésekre.

Mit tartalmazott a CHMP ajánlása az adott időpontban?

A kérelem visszavonásának időpontjában a CHMP-nek az volt az ideiglenes véleménye, hogy az Enpaxiq alkalmazása nem engedélyezhető a mielofibrózis kezelésére.

A bizottságnak számos aggálya volt: úgy tűnt, hogy a lép mérete csökkenése, a hatékonyság fő mérőszáma a vizsgálatban, alacsonyabb az Enpaxiq esetében, mint egy másik, azonos osztályú gyógyszerénél, és nem javultak a tüneti pontszámok; az alacsony vérlemezkeszám előfordulása (amely vézést okozhat) gyakoribb volt az Enpaxiq-kel kezelt betegekénél; és több haláleset fordult elő az Enpaxiq-et szedő betegek között, mint azoknál, akik a legjobb rendelkezésre álló terápiában részesültek, beleértve a vérzés és a szívre gyakorolt hatások miatti haláleseteket.

Ezenfelül a CHMP megjegyezte, hogy több információra van szükség az Enpaxiq gyártásához felhasznált kezdővegyülettel, valamint a szervezetben bizonyos célfehérjékre kifejtett hatásának módjával kapcsolatban.

Ezen aggályok miatt a bizottság azon a véleményen volt, hogy nem igazolták, hogy az Enpaxiq előnyei meghaladják a kockázatokat.

Mivel indokolta a vállalat a kérelem visszavonását?

Az Ügynökséget a kérelem visszavonásáról értesítő levelében a vállalat azt nyilatkozta, hogy a kérelem visszavonásának oka az volt, hogy nem állt rendelkezésre elég idő a jelen kérelmezési eljárásban, hogy új adatokat nyújtsanak be az Enpaxiq-kel végzett, második vizsgálatból. A vállalat azt mondta, hogy bele kívánja foglalni a vizsgálatból származó új adatokat a jelenlegi dossziéjába, mielőtt az EMA elé járulna egy újabb kérelem megbeszélése céljából. A visszavonásról szóló levél [itt](#) található.

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

A vállalat tájékoztatta a CHMP-t, hogy nincs következmény az Enpaxiq-kel végzett klinikai vizsgálatokban vagy engedélyezés előtti kezelési programokban jelenleg részt vevő betegek számára.

Ha Ön ilyen klinikai vizsgálatban vagy engedélyezés előtti kezelési programban vesz részt, és kezelését illetően további információra van szüksége, vegye fel a kapcsolatot kezelőorvosával.