



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2019. február 1.  
EMA/38410/2019  
EMA/H/C/004487

## A Vynpenta kapszulára (avacopan) vonatkozó forgalombahozatali engedély iránti kérelem visszavonása

2019. január 23-án a ChemoCentryx hivatalosan értesítette az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottságát (CHMP), hogy vissza kívánja vonni a granulomatosis polyangiitisszel és a mikroszkopikus polyangiitis érbetegségek kezelésére szánt Vynpenta kapszulára vonatkozó feltételes forgalombahozatali engedély iránti kérelmét.

### Milyen típusú gyógyszer a Vynpenta?

A Vynpenta egy avacopan nevű hatóanyagot tartalmazó gyógyszer. Szájon át adható kapszula formájában kívánták forgalomba hozni.

### Milyen alkalmazásra szánták a Vynpenta kapszulát?

A Vynpenta kapszulát granulomatosis polyangiitisszel (GPA) és a mikroszkopikus polyangiitis (MPA) betegségekben szenvedő felnőtteknél a vérerek gyulladásának kezelésére használták. A gyógyszert ciklofoszfammal vagy rituximabbal tervezték használni.

A Vynpenta kapszulát 2014. november 19-én ezeknek a betegségeknek tekintetében „ritka betegség elleni gyógyszerre” minősítették. A ritka betegség elleni gyógyszerre minősítésről további információ itt található: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141373](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141373) (granulomatosis polyangiitisszel), [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141372](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141372) (mikroszkopikus polyangiitis).

### Hogyan fejt ki hatását a Vynpenta?

A Vynpenta a vérben keringő, komplement 5a nevű fehérjének a receptorát (célpontját) gátolja, amely az immunrendszer (a test természetes védekezőrendszere) egy eleme.

Ha a C5a kapcsolódik ehhez a receptorhoz, akkor az magához vonzza és aktiválja a neutrofileknek nevezett immunsejteket, amelyek az elképzelés szerint hozzájárulnak a kis vérerek gyulladásához a granulomatosis polyangiitisszel és a mikroszkopikus polyangiitis esetében. A C5a receptorának



gátlásával azt várták, hogy a Vypenta csökkenti a kis vérerek gyulladását, ezáltal enyhítve a kórkép tüneteit.

## **Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a kérelem alátámasztására?**

A feltételes forgalombahozatali engedély iránti kérelem alátámasztására a vállalat bemutatta két, összesen 109 beteg bevonásával végzett vizsgálat eredményeit. Az egyik vizsgálatban a Vypenta kapszulát a szokásos, prednizont (kortikoszteroid) tartalmazó kezeléssel hasonlították össze, míg a másikban a Vypenta és prednizon-kezelést a prednizzonnal önmagában. A fő hatásossági mutató a 12 hetes kezelés során, mindkét vizsgálatban a vérér-gyulladás tüneteinek legalább 50%-os enyhülését tapasztaló betegek aránya volt, amit a Birmingham vasculitis aktivitási indexszel (BVAS) mértek.

## **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 benyújtott dokumentációt, és kidolgozta a kérdéslistákat. A vállalat a visszavonás időpontjában még nem válaszolt az utolsó kérdéssorra.

## **Mit tartalmazott a CHMP ajánlása az adott időpontban?**

A visszavonás időpontjában az adatok és a vállalat által a CHMP listáin szereplő kérdésekre adott válaszok áttekintése alapján a CHMP részéről néhány aggály merült fel, és az volt az ideiglenes véleménye, hogy a Vynpenta alkalmazása nem engedélyezhető a granulomatosis polyangiitisszel és a mikroszkopikus polyangiitis kezelésére.

A CHMP problémát tárt fel a vizsgálat elrendezésével kapcsolatban, és aggály merült fel azzal kapcsolatban is, hogy a rendelkezésre álló adatok nem elegendőek annak igazolására, hogy a Vynpenta hatékony ezen betegségek kezelésében. Bár a vizsgálatok arra utaltak, hogy a BVAS több Vynpenta-val kezelt beteg esetében javult részlegesen, mint a szokásos kezelésben részesülőknél, ezt nem tekintették teljes mértékben jellemzőnek, mivel azoknál a betegeknél, akiknél csak részlegesen javultak a tünetek, nagy az esélye a betegség kiújulásának. Egy másik mutató esetében – azon betegek arányában, akiknek semmilyen tünetük sem volt – úgy tűnik, hogy a gyógyszer nem működik jobban, mint a szokásos kezelés.

A biztonságossággal kapcsolatban a Bizottság megjegyezte, hogy nagyon kevés adat van a Vynpenta mellékhatásairól. Ezen felül aggályok merültek fel a gyógyszer előállításánál használt kiindulási anyag kiválasztásával kapcsolatban is.

Ezért a visszavonás időpontjában a CHMP véleménye az volt, hogy a vállalat nem nyújtott be elegendő adatot a Vynpenta kapszulára vonatkozó kérelem alátámasztásához.

## **Mivel indokolta a vállalat a kérelem visszavonását?**

Az Ügynökséget a kérelem visszavonásáról értesítő levelében a vállalat úgy nyilatkozott, hogy úgy döntöttek, az erőfeszítéseikkel a teljes forgalombahozatali engedély iránti kérelem jövőbeni benyújtására összpontosítanak, mivel hamarosan elérhetővé válnak annak a folyamatban lévő vizsgálatnak a további adatai, amelyet több, mint 300 olyan beteg bevonásával végeztek, akik 52 hétig kaptak kezelést.

A visszavonásról szóló levél [itt](#) olvasható.

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

A vállalat tájékoztatta a CHMP-t, hogy a visszavonásnak a Vynpenta kapszulával végzett klinikai vizsgálatokban vagy engedélyezés előtti kezelési programokban jelenleg részt vevő betegekre nézve nincsenek következményei.

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