



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Az Imbarkyd-ra (bardoxolon) vonatkozó forgalombahozatali engedély iránti kérelem visszavonása

A Reata Ireland Limited visszavonta a felnőtteknél, valamint 12 éves és idősebb gyermekeknél az Alport-szindróma által okozott krónikus vesebetegség kezelésére szánt Imbarkyd-ra vonatkozó forgalombahozatali engedély iránti kérelmét.

A vállalat 2022. november 9-én vonta vissza a kérelmet.

Milyen típusú gyógyszer az Imbarkyd és milyen alkalmazásra szánták?

Az Imbarkyd-ot az Alport-szindróma által okozott krónikus vesebetegség kezelésére fejlesztették ki felnőttek, valamint 12 éves és idősebb gyermekek számára.

Az Imbarkyd hatóanyaga a bardoxolon-metil, és szájon át alkalmazandó kapszulák formájában lett volna kapható.

Az Imbarkyd-ot 2018. május 25-én az Alport-szindróma által okozott krónikus vesebetegség 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/eu3182019.

Hogyan fejt ki hatását az Imbarkyd?

Az Imbarkyd hatóanyaga, a bardoxolon-metil aktiválja az Nrf2 transzkripciós faktort, amely a gyulladásban szerepet játszó bizonyos géneket szabályozó fehérje. Az Alport-szindróma által okozott krónikus vesebetegségben szenvedő betegeknél az Nrf2 aktivitása gyakran megváltozik. Ezért az Imbarkyd-tól azt várták, hogy helyreállítja a veseműködést és enyhíti a betegek tüneteit.

Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a kérelem alátámasztására?

A vállalat egy fő vizsgálat eredményeit nyújtotta be, amelyben 157, az Alport-szindróma által okozott enyhe vagy közepesen súlyos krónikus vesebetegségben szenvedő beteg vett részt. A vizsgálatban a becsült glomeruláris filtrációs rátát tanulmányozták, amely a vesék működését jellemző mérőszám. Az Imbarkyd-kezelést placebóval (hatóanyag nélküli kezeléssel) hasonlították össze.

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

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

An agency of the European Union



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 kidolgozta a kérdéslisztákat. Miután az Ügynökség értékelte a vállalatnak az utolsó kérdéssorra adott válaszait, még mindig maradt néhány megoldatlan probléma.

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 Imbarkyd alkalmazása nem engedélyezhető az Alport-szindróma által okozott krónikus vesebetegség kezelésére.

A kérelmező által benyújtott adatok alapján nem volt egyértelmű, hogyan bomlik le a bardoxolon a szervezetben, és hogy a gyógyszer végtermékei befolyásolhatják-e a betegek egészségét. A vizsgálat nem igazolta meggyőzően, hogy a bardoxolon tartósan előnyös hatást gyakorol a veseműködésre az Alport-szindrómában szenvedő betegeknél, és aggályok merültek fel a vese- és szívműködésre gyakorolt lehetséges negatív hatásokkal kapcsolatban.

Ezért a visszavonás időpontjában az Ügynökség meglátása szerint az Imbarkyd előnyei nem haladták meg a kockázatokat.

Mivel indokolta a vállalat a kérelem visszavonását?

Az Ügynökséget a kérelem visszavonásáról értesítő [levelében](#) a vállalat úgy nyilatkozott, hogy azért vonja vissza kérelmét, mert az Ügynökség úgy véli, hogy a benyújtott adatok jelenleg nem teszik lehetővé pozitív előny-kockázat profil megállapítását.

Milyen következményekkel jár a visszavonás azokra a betegekre nézve, akik részt vesznek klinikai vizsgálatokban?

A vállalat tájékoztatta az Ügynökséget, hogy a visszavonásnak az Imbarkyd-dal végzett klinikai vizsgálatokban jelenleg részt vevő betegekre nézve nincsenek következményei.

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