



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2026. március 27.
EMA/70818/2026
EMA/H/C/006475

A Blarcamesine Anavex-re (blarkamezin) vonatkozó forgalombahozatali engedély iránti kérelem visszavonása

Az Anavex Germany GmbH visszavonta az Alzheimer-kór és a demencia (kognitív károsodás) kezelésére szánt Blarcamesine Anavex forgalombahozatali engedélye iránti kérelmét.

A vállalat 2026. március 25-én vonta vissza a kérelmet.

Az Európai Gyógyszerügynökség 2025 decemberében a forgalombahozatali engedély elutasítását javasolta. A vállalat ezt követően az Ügynökség véleményének felülvizsgálatát kérte, de a kérelmet a felülvizsgálat befejezése előtt visszavonta.

Milyen típusú gyógyszer a Blarcamesine Anavex és milyen alkalmazásra szánták?

A Blarcamesine Anavex-et Alzheimer-kórban és demenciában szenvedő felnőttek kezelésére fejlesztették ki.

Az értékelés során a vállalat azt javasolta, hogy az indikációt olyan felnőttekre korlátozzák, akik korai Alzheimer-kórban szenvednek – ideértve az Alzheimer-kórhoz társuló enyhe kognitív zavart, illetve az Alzheimer-kór okozta korai stádiumú enyhe demenciát –, és akiknél nem mutatható ki a *SIGMAR1* nevű gén mutációja (megváltozása). A *SIGMAR1* az a gén, amely az idegsejtek egészségéhez és túléléséhez hozzájáruló sejt folyamatokban részt vevő szigma-1 receptor fehérje előállítására vonatkozó utasításokat adja. A gyógyszert más kezelések mellett kellett volna alkalmazni.

A Blarcamesine Anavex hatóanyaga a blarkamezin, és szájon át szedendő kapszula formájában lett volna kapható.

Hogyan fejtí ki hatását a Blarcamesine Anavex?

Korai Alzheimer-kórban szenvedőknél a kognitív károsodást az agy idegsejtjeinek elvesztése okozza. A Blarcamesine Anavex hatóanyaga, a blarkamezin aktiválja a szigma-1 receptor fehérjét. A szigma-1 receptor fehérje aktiválása révén a blarkamezintől azt várták, hogy segít az idegsejtek megfelelő működésében, és megvédi azokat a gyulladás okozta károsodástól. Végeredményben azt várták, hogy mindez lassítja a kognitív működés hanyatlását.

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



Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a kérelem alátámasztására?

A vállalat egy fő vizsgálat eredményeit mutatta be, amelyben 462, korai Alzheimer-kórban szenvedő, 60 és 85 év közötti felnőtt vett részt. A vizsgálatban részt vevő betegek Blarcamesine Anavex-et vagy placebót (hatóanyag nélküli kezelést) kaptak. A hatásosság fő mutatója a kognitív funkció és a napi tevékenységek elvégzésére való képesség volt 48 héten keresztül. A kognitív funkciót az „Alzheimer-kór értékelési skála”, azon belül a kognitív részskálája (ADAS-Cog13) segítségével mérték, a napi tevékenységek elvégzésére való képességet pedig az „Alzheimer-kór kooperatív vizsgálata – A napi életviteli skála tevékenységei” (ADCS-ADL) segítségével mérték. A vállalat a fő vizsgálatban részt vevő betegek egy alcsoportjától – nevezetesen a korai Alzheimer-kórban szenvedő, a SIGMAR1 gén mutációjával nem rendelkező felnőttektől – származó adatok elemzésének eredményeit is bemutatta.

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

Az első értékelés 2025. december 11-én befejeződött, és az Európai Gyógyszerügynökség a forgalombahozatali engedély elutasítását javasolta. A vállalat ezután az Ügynökség véleményének felülvizsgálatát kérte, ez a felülvizsgálat azonban még nem fejeződött be, amikor a vállalat végül visszavonta a kérelmét.

Mit tartalmazott az Ügynökség ajánlása az adott időpontban?

A kezdeti értékeléskor az Ügynökség arra a következtetésre jutott, hogy a fő vizsgálat nem igazolta a Blarcamesine Anavex hatásosságát és biztonságosságát a korai Alzheimer-kórban szenvedő, a SIGMAR1 gén mutációjával nem rendelkező betegeknél.

A fő vizsgálat nem teljesítette a fő célkitűzését, amely az volt, hogy a hatásosság mindkét fő mutatójában kisebb csökkenést mutasson, mint a placebo. Ezenfelül az elemzésnek módszertani problémái is voltak, amelyek aggályokat vetettek fel az eredmények érvényességével kapcsolatban. A fő vizsgálat sikertelensége és a módszertani problémák miatt, valamint a SIGMAR1 mutációval nem rendelkező betegek alcsoportjára vonatkozó adatok elemzése alapján a gyógyszer hatásossága nem igazolható.

A biztonságosságot illetően: a biztonságossági adatbázis korlátai és a biztonságossági adatok gyűjtésének módja nem tette lehetővé a Blarcamesine Anavex biztonságossági profiljának kellő jellemzését. Az Ügynökség megemlítette, hogy a betegek nagy arányban abbahagyták a kezelést a fő vizsgálat során, főként a központi idegrendszerrel kapcsolatos mellékhatások miatt, ami aggályokat vetett fel a gyógyszer tolerálhatóságát illetően.

A minőséget illetően az Ügynökség úgy ítélte meg, hogy a benyújtott információk alapján nem zárható ki a nitrózamin-szennyeződések képződése (ezek olyan szennyeződések, amelyek esetlegesen rákot okozhatnak).

A Blarcamesine Anavex hatásosságára és biztonságosságára vonatkozó következtetésének levonásakor az Ügynökség elismerte az Alzheimer-kór kezelésének szükségességét, amely még nem megoldott, és figyelembe vette azon betegek és egészségügyi szakemberek véleményét, akik megosztották a betegséggel való együttéléssel vagy annak kezelésével kapcsolatos szükségleteiket és tapasztalataikat.

Bár a vállalat feltételes forgalombahozatali engedély iránti kérelmet nyújtott be, a gyógyszer nem felelt meg az ilyen típusú engedély kiadásához szükséges kritériumoknak. Ennek eredményeként az Ügynökség a feltételes forgalombahozatali engedély elutasítását javasolta.

Mivel indokolta a vállalat a kérelem visszavonását?

Az Ügynökséget a kérelem visszavonásáról értesítő [levelében](#) a vállalat úgy nyilatkozott, hogy a visszavonás a CHMP bizottságtól kapott visszajelzésen alapult (a CHMP a Gyógyszerügynökségen belül az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottsága), amely visszajelzés szerint a benyújtott adatok alapján nem lehetett volna azt a következtetést levonni, hogy a gyógyszer előnyei meghaladják a kockázatokat.

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 a Blarcamesine Anavex-szel 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.