



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2019. október 18.
EMA/559309/2019
EMA/H/C/004468

A Vanflyta-ra (kvizartinib) vonatkozó forgalombahozatali engedély iránti kérelem elutasítása

Az Európai Gyógyszerügynökség az akut mieloid leukémiában (AML; a fehérvérsejtek daganatos betegsége) szenvedő felnőttek kezelésére szánt Vanflyta elnevezésű gyógyszerre vonatkozó forgalombahozatali engedély elutasítását javasolta.

Az Ügynökség 2019. október 17-én adta ki véleményét. Az engedély iránti kérelmet a Daiichi Sankyo Europe GmbH vállalat nyújtotta be. A vállalat a vélemény kézhezvételét követő 15 napon belül kérheti a vélemény felülvizsgálatát.

Milyen típusú gyógyszer a Vanflyta és milyen alkalmazásra szánták?

A Vanflyta-t daganatellenes gyógyszerként fejlesztették ki az AML egyik típusa, az úgynevezett „FLT3-ITD pozitív” forma (amikor a daganatsejtek egy bizonyos változást tartalmaznak az FLT3 nevű fehérjé kódoló génben) kezelésére. A Vanflyta-t olyan felnőtt betegeknek tervezték alkalmazni, akiknek a betegsége kiújult vagy nem reagált a korábbi kezelésekre, valamint a kezelés folytatására, miután a beteg vérképző őssejt-átültetésen (olyan sejtek beültetése, amelyek különböző vörsejteké képesek átalakulni) esett át.

A Vanflyta hatóanyaga a kvizartinib és tabletták formájában kívánták forgalmazni.

A Vanflyta-t 2009. március 23-án az AML kezelése tekintetében „ritka betegség elleni gyógyszerré” minősítették. A ritka betegség elleni gyógyszerre minősítésről további információ az Ügynökség honlapján található: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu309622.

Hogyan fejti ki hatását a Vanflyta?

A Vanflyta hatóanyaga, a kvizartinib, egy „receptor-tirozin-kináz inhibitor”. Azáltal fejti ki hatását, hogy gátolja a sejtnövekedésben és -osztódásban szerepet játszó fehérjét, az FLT3-at. Az FLT3 gátlásával a kvizartinib várhatóan leállítja a daganatsejtek osztódását, lelassítva ezáltal a daganat növekedését.



Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a kérelem alátámasztására?

A vállalat egy vizsgálat eredményeit nyújtotta be, amelyben 367 olyan, FLT3-ITD pozitív AML-ben szenvedő beteg vett részt, akiknek a betegsége nem reagált a kezelésre vagy kiújult a kezelés után. A Vanflyta-t egy másik daganatellenes gyógyszerrel hasonlították össze, és a hatásosság fő mutatója a teljes túlélés volt (mennyi ideig éltek a betegek) a Vanflyta vagy az összehasonlító készítmény beadását követően.

Melyek voltak a fő okai a forgalombahozatali engedély elutasításának?

Bár a fő vizsgálat eredményei enyhe javulást jeleztek a Vanflyta-val kezelt betegek teljes túlélésében, a vizsgálat fontos korlátokkal rendelkezett, ami azt jelentette, hogy a Vanflyta hatékonyságát nem tudták kellőképpen bizonyítani.

Ezért az Ügynökség azon a véleményen volt, hogy a Vanflyta előnyei nem haladják meg a kockázatokat, és a forgalombahozatali engedély kiadásának elutasítását javasolta.

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

A vállalat tájékoztatta az Ügynökséget, hogy nincs következmény a Vanflyta-val végzett klinikai vizsgálatokban vagy engedélyezés előtti alkalmazási programban részt vevő betegekre nézve.

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