

23 marzo 2018
EMA/165563/2018
EMA/H/C/000332

Ritiro della domanda di modifica dell'autorizzazione all'immissione in commercio per Aranesp (darbepoetina alfa)

Il 21 febbraio 2018 Amgen Europe B.V. ha ufficialmente notificato al comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) la sua intenzione di ritirare la domanda relativa all'aggiunta, nell'autorizzazione all'immissione in commercio esistente, del trattamento dell'anemia nei pazienti adulti affetti da sindromi mielodisplastiche.

Che cos'è Aranesp?

Aranesp è un medicinale già utilizzato nel trattamento dell'anemia (bassa conta di globuli rossi) che sta causando sintomi nei seguenti gruppi di pazienti:

- adulti e bambini con "insufficienza renale cronica" (prolungata e progressiva diminuzione della capacità dei reni di funzionare in maniera adeguata);
- adulti sottoposti a chemioterapia per tumore "non mieloidi" (che non ha origine nel midollo osseo).

Aranesp è autorizzato dal giugno 2001. Contiene il principio attivo darbepoetina alfa.

Ulteriori informazioni sugli usi correnti di Aranesp sono disponibili sul sito web dell'Agenzia: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports.

Per che cosa avrebbe dovuto essere usato Aranesp?

Aranesp avrebbe dovuto essere usato per il trattamento dell'anemia nei pazienti affetti da sindromi mielodisplastiche, un gruppo di disturbi del midollo osseo. Il medicinale doveva essere somministrato a pazienti che non dovevano ricorrere a trasfusioni di sangue frequenti e la cui patologia presentava un rischio basso/intermedio di evolvere in leucemia mieloide acuta (AML, un tipo di tumore dei globuli bianchi).

Come agisce Aranesp?

Nel trattamento dell'anemia in pazienti affetti da sindromi mielodisplastiche, il meccanismo d'azione previsto per Aranesp era identico a quello riportato per le indicazioni esistenti. La darbepoetina alfa, il principio attivo di Aranesp, agisce esattamente come un ormone naturale chiamato eritropoietina, che è generata dai reni per stimolare la produzione di globuli rossi, ma presenta una struttura leggermente diversa: ha una durata d'azione più lunga e può essere somministrata con minore frequenza rispetto all'eritropoietina naturale. Agendo in modo identico all'eritropoietina, Aranesp stimola una maggiore produzione di globuli rossi da parte dell'organismo, curando così l'anemia.

Quale documentazione ha presentato la ditta a sostegno della domanda?

Il richiedente ha presentato dati tratti da due studi principali condotti su 356 pazienti anemici affetti da sindromi mielodisplastiche. Il primo studio ha messo a confronto Aranesp con placebo (un trattamento fittizio) per 24 settimane. Il principale indicatore dell'efficacia era una riduzione del numero di trasfusioni di globuli rossi. Nel secondo studio tutti i pazienti hanno ricevuto Aranesp per 13 settimane e lo studio ha quantificato il livello di emoglobina, il costituente principale dei globuli rossi, nel sangue.

A che punto della valutazione si trovava la domanda quando è stata ritirata?

La domanda è stata ritirata dopo che il CHMP aveva valutato la documentazione iniziale fornita dalla ditta e aveva formulato un elenco di domande. Al momento del ritiro la ditta non aveva ancora risposto alle domande.

Qual era la raccomandazione del CHMP a quel punto?

In base all'esame dei dati, al momento del ritiro della domanda, il CHMP aveva avuto alcuni dubbi ed era provvisoriamente del parere che Aranesp non potesse essere autorizzato per il trattamento dell'anemia nei pazienti adulti affetti da sindromi mielodisplastiche.

Il CHMP riteneva che eventuali modifiche al disegno di uno studio e l'esclusione di un alto numero di pazienti dall'analisi dei risultati suscitassero dubbi sulla validità dei dati. Inoltre, uno studio condotto negli Stati Uniti non era conforme alle raccomandazioni dell'UE per il trattamento di pazienti affetti da sindromi mielodisplastiche.

Pertanto, al momento del ritiro della domanda, il CHMP riteneva che i risultati dello studio non fossero affidabili e aveva concluso che la modifica dell'utilizzo del medicinale non poteva essere autorizzata sulla base dei dati presentati dalla ditta.

Quali sono i motivi invocati dalla ditta per il ritiro della domanda?

Nella lettera con cui notifica all'Agenzia il ritiro della domanda, la ditta ha dichiarato che detto ritiro si basa sul parere del CHMP, secondo cui i dati presentati non consentono al comitato di autorizzare l'uso nelle sindromi mielodisplastiche.

La lettera di ritiro della domanda è consultabile [qui](#).

Quali sono le conseguenze del ritiro per i pazienti inseriti in studi clinici?

La ditta ha informato l'Agenzia che non vi sono studi clinici in corso con Aranesp sponsorizzati da Amgen.

Le persone inserite in uno studio clinico che abbiano bisogno di maggiori informazioni sul proprio trattamento possono consultare il medico che le sta trattando.

Che cosa succede nel caso di Aranesp negli usi autorizzati?

Non vi sono conseguenze per l'utilizzo di Aranesp negli usi autorizzati.