



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

18 settembre 2020
EMA/529860/2020
EMA/H/C/5004

Ritiro della domanda di autorizzazione all'immissione in commercio per Upkanz (deferiprone)

Apotex B.V. ha ritirato la domanda di autorizzazione all'immissione in commercio per Upkanz per il trattamento della neurodegenerazione associata alla pantotenato chinasi.

La ditta ha ritirato la domanda il 10 agosto 2020.

Che cos'è Upkanz e per che cosa avrebbe dovuto essere usato?

Upkanz è stato sviluppato come medicinale per il trattamento della neurodegenerazione associata alla pantotenato chinasi (PKAN), una malattia ereditaria rara che provoca un aumento dei danni cerebrali e può portare a condizioni come distonia (movimento incontrollato dei muscoli), parkinsonismo e demenza. I primi segni della malattia si sviluppano nell'infanzia.

Upkanz contiene il principio attivo deferiprone e avrebbe dovuto essere disponibile in forma liquida da assumere per via orale.

Upkanz è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 27 giugno 2018 per il trattamento della neurodegenerazione con accumulo cerebrale di ferro. Ulteriori informazioni sulla designazione di medicinale orfano sono disponibili sul sito web dell'Agenzia: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3182034.

Come agisce Upkanz?

Nei pazienti affetti da PKAN, si verifica un accumulo di ferro in parti del cervello, comprese quelle coinvolte nel controllo dei movimenti. Questa quantità eccessiva di ferro è responsabile di danni. Deferiprone, il principio attivo di Upkanz, è un chelante del ferro, ossia si lega al ferro presente nell'organismo. In questo modo, impedisce al ferro di provocare danni e ne permette l'eliminazione dall'organismo, soprattutto con l'urina. Deferiprone avrebbe dovuto penetrare nel cervello e contribuire a impedire l'accumulo di ferro nelle cellule cerebrali, riducendo in tal modo i danni a carico del cervello.

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



Quale documentazione ha presentato la ditta a sostegno della domanda?

La ditta ha presentato i risultati di uno studio principale che ha coinvolto 89 pazienti a partire dai 4 anni di età affetti da PKAN. Lo studio ha messo a confronto le variazioni nella gravità della distonia in pazienti trattati con Upkanz con quelli che hanno ricevuto un placebo (un trattamento fittizio).

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

La domanda è stata ritirata dopo che l'Agencia europea per i medicinali aveva valutato le informazioni fornite dalla ditta e aveva formulato delle domande per quest'ultima. Al momento del ritiro la ditta non aveva ancora risposto all'ultima serie di domande.

Qual era la raccomandazione dell'Agencia a quel punto?

In base all'esame dei dati e delle risposte fornite dalla ditta alle domande dell'Agencia, al momento del ritiro della domanda, l'Agencia aveva alcuni dubbi ed era provvisoriamente del parere che Upkanz non potesse essere autorizzato per il trattamento della PKAN. In particolare, la preoccupazione dell'Agencia riguardava il fatto che lo studio principale non avesse evidenziato chiaramente l'efficacia del medicinale.

Pertanto, al momento del ritiro della domanda, l'Agencia riteneva che, non essendo stata dimostrata l'efficacia, i benefici di Upkanz non fossero superiori ai suoi rischi.

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

Nella [lettera](#) con cui notifica all'Agencia il ritiro della domanda, la ditta ha dichiarato che lo sviluppo e l'immissione in commercio del medicinale si trovavano in fase di rivalutazione, in seguito al trasferimento del medicinale a un'altra ditta.

Il ritiro della domanda influisce sui pazienti inseriti in studi clinici o in programmi di uso compassionevole?

La ditta ha informato l'Agencia che non vi sono conseguenze per i pazienti inseriti in studi clinici o in programmi di uso compassionevole con Upkanz.