

24 marzo 2017
EMA/192276/2017
EMA/H/C/004193

Domande e risposte

Ritiro della domanda di autorizzazione all'immissione in commercio per Enpaxiq (pacritinib)

Il 20 febbraio 2017, CTI BioPharma ha notificato ufficialmente al comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) la sua intenzione di ritirare la domanda di autorizzazione all'immissione in commercio per Enpaxiq, per il trattamento di pazienti con ingrossamento della milza o altri sintomi di mielofibrosi.

Che cos'è Enpaxiq?

Enpaxiq è un medicinale che contiene il principio attivo pacritinib. Avrebbe dovuto essere disponibile sotto forma di capsule da prendere per bocca.

Per che cosa avrebbe dovuto essere usato Enpaxiq?

Enpaxiq avrebbe dovuto essere usato per trattare pazienti con ingrossamento della milza o altri sintomi di mielofibrosi, un disturbo in cui il tessuto cicatriziale si accumula nel midollo osseo, dove vengono prodotte le cellule del sangue.

Enpaxiq è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 25 agosto 2010 per tipi diversi di mielofibrosi. Ulteriori informazioni sulle designazioni di medicinale orfano sono disponibili [qui](#).

Come agisce Enpaxiq?

Il principio attivo di Enpaxiq, pacritinib, blocca l'azione di JAK2 e FLT3, due proteine coinvolte nella produzione e nella crescita delle cellule del sangue. Nella mielofibrosi, i pazienti presentano una quantità eccessiva di queste proteine, che causano la produzione di cellule del sangue immature, alcune delle quali migrano in organi come la milza, provocandone l'ingrossamento. Bloccando queste

proteine, Enpaxiq dovrebbe rallentare la produzione di cellule del sangue immature, contribuendo così a ridurre i sintomi della malattia.

Quale documentazione ha presentato la ditta a sostegno della domanda?

La ditta ha presentato i dati di uno studio principale su 327 pazienti con mielofibrosi che ha esaminato il numero di pazienti in cui le dimensioni della milza si sono ridotte di almeno il 35% dopo 24 settimane di trattamento. Lo studio ha confrontato Enpaxiq con la «miglior terapia disponibile», che includeva trattamenti che non agiscono sulle proteine JAK come l'idrossiurea o cure di supporto.

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?

Al momento del ritiro della domanda, il CHMP era provvisoriamente del parere che Enpaxiq non potesse essere approvato per la mielofibrosi.

Il comitato aveva diversi dubbi: la riduzione delle dimensioni della milza, la misura principale di efficacia nello studio, sembrava essere inferiore con Enpaxiq rispetto ad un altro medicinale della sua classe, senza alcun miglioramento nei punteggi dei sintomi; l'incidenza di bassi livelli di piastrine nel sangue (che può provocare sanguinamento) era maggiore nei pazienti trattati con Enpaxiq; infine, si è verificato un maggior numero di decessi nei pazienti che assumevano Enpaxiq rispetto a quelli trattati con la migliore terapia disponibile, compresi decessi dovuti a sanguinamento ed effetti sul cuore.

Inoltre, il CHMP ha osservato che erano necessarie maggiori informazioni sui materiali di partenza usati nella fabbricazione di Enpaxiq e su come questo agisca su determinate proteine bersaglio nel corpo.

Alla luce di questi dubbi, il comitato era del parere che i benefici di Enpaxiq non risultassero superiori ai suoi rischi.

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

Nella sua lettera all'Agenzia, la ditta ha dichiarato che il motivo del ritiro della domanda era legato alla mancanza di tempo sufficiente nell'attuale procedura di domanda per fornire nuovi dati raccolti da un secondo studio principale su Enpaxiq. La ditta ha affermato di voler integrare i nuovi dati dallo studio nel dossier corrente prima di presentare una nuova domanda all'EMA. La lettera di ritiro della domanda è consultabile [qui](#).

Quali sono le conseguenze del ritiro per i pazienti inseriti in studi clinici o in programmi di uso compassionevole?

La ditta ha informato il CHMP che non vi sono conseguenze per i pazienti attualmente inclusi in sperimentazioni cliniche o programmi di uso compassionevole con Enpaxiq.

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