



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

1° febbraio 2019
EMA/38410/2019
EMA/H/C/004487

Ritiro della domanda di autorizzazione all'immissione in commercio per Vynpenta (avacopan)

Il 23 gennaio 2019 ChemoCentryx 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 condizionata per Vynpenta (avacopan), per il trattamento di disturbi dei vasi sanguigni quali granulomatosi con poliangioite e poliangioite microscopica.

Che cos'è Vynpenta?

Vynpenta è un medicinale contenente il principio attivo avacopan. Avrebbe dovuto essere disponibile sotto forma di capsule da prendere per bocca.

Per che cosa avrebbe dovuto essere usato Vynpenta?

Vynpenta avrebbe dovuto essere usato per tenere sotto controllo l'infiammazione dei vasi sanguigni negli adulti affetti da granulomatosi con poliangioite (GPA) o poliangioite microscopica (MPA). Il medicinale avrebbe dovuto essere usato in associazione a ciclofosfamide o rituximab.

Vynpenta è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 19 novembre 2014 per le suddette affezioni. Ulteriori informazioni sulla designazione di medicinale orfano sono disponibili qui: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141373 (granulomatosi con poliangioite), ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141372 (poliangioite microscopica).

Come agisce Vynpenta?

Vynpenta blocca il recettore (bersaglio) di una proteina ematica denominata complemento 5a, che fa parte del sistema immunitario (le difese naturali dell'organismo).

Quando il C5a si lega al suo recettore, attira e attiva le cellule immunitarie denominate neutrofili, che si ritiene contribuiscano all'infiammazione dei piccoli vasi sanguigni in presenza di granulomatosi con poliangioite e di poliangioite microscopica. Bloccando il recettore del C5a, Vynpenta avrebbe dovuto ridurre l'infiammazione dei vasi sanguigni, alleviando così i sintomi della malattia.



Quale documentazione ha presentato la ditta a sostegno della domanda?

A sostegno della domanda di autorizzazione all'immissione in commercio condizionata, la ditta ha presentato i risultati di due studi condotti su un totale di 109 pazienti. Uno degli studi ha messo a confronto Vynpenta con un trattamento standard a base di prednisone (un corticosteroide), mentre l'altro ha messo a confronto Vynpenta più prednisone con prednisone in monoterapia. In entrambi gli studi, il principale parametro dell'efficacia è stato la percentuale di pazienti che presentavano una riduzione pari ad almeno il 50 % dei sintomi di infiammazione dei vasi sanguigni durante 12 settimane di trattamento, misurata utilizzando la scala Birmingham Vasculitis Activity Score (BVAS).

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 fornita dalla ditta e aveva formulato degli elenchi di domande. Al momento del ritiro la ditta non aveva ancora risposto all'ultima serie di domande.

Qual era la raccomandazione del CHMP a quel punto?

In base all'esame dei dati e delle risposte fornite dalla ditta agli elenchi di domande poste dal CHMP, al momento del ritiro della domanda, il CHMP aveva alcuni dubbi ed era provvisoriamente del parere che Vynpenta non potesse essere autorizzato per il trattamento di granulomatosi con poliangioite e di poliangioite microscopica.

Il CHMP ha riscontrato problemi nel disegno degli studi e ha espresso la preoccupazione che i dati disponibili non fossero sufficienti a dimostrare l'efficacia di Vynpenta nel trattamento di queste affezioni. Sebbene gli studi avessero suggerito miglioramenti parziali nella scala BVAS in un numero maggiore di pazienti trattati con Vynpenta rispetto al trattamento standard, ciò non è stato considerato del tutto pertinente dato che i pazienti che manifestano solo una riduzione parziale dei sintomi sono ad alto rischio di recidiva della malattia. È emerso come il medicinale non agiva meglio del trattamento standard rispetto a un altro criterio di valutazione: la percentuale di pazienti che non presentava sintomi.

Per quanto riguarda la sicurezza, il comitato ha osservato che i dati sugli effetti indesiderati di Vynpenta erano molto limitati. Inoltre, vi erano preoccupazioni riguardo alla scelta delle materie prime utilizzate per la produzione del medicinale.

Pertanto, al momento del ritiro della domanda, il CHMP riteneva che la ditta non avesse fornito dati sufficienti a sostegno della domanda per Vynpenta.

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 aveva deciso di concentrare i propri sforzi sulla futura presentazione di una domanda di autorizzazione all'immissione in commercio incondizionata, dato che saranno presto disponibili ulteriori dati derivanti da uno studio in corso su oltre 300 pazienti trattati per 52 settimane.

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

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

La ditta ha informato il CHMP che il suddetto ritiro non ha alcun impatto sugli studi clinici o sui programmi di uso compassionevole in corso con Vynpenta.

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.