



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

16 dicembre 2022  
EMA/913652/2022  
EMA/H/C/005869

## Ritiro della domanda di autorizzazione all'immissione in commercio per Imbarkyd (bardoxolone)

Reata Ireland Limited ha ritirato la domanda di autorizzazione all'immissione in commercio per Imbarkyd per il trattamento della malattia renale cronica causata dalla sindrome di Alport negli adulti e negli adolescenti a partire dai 12 anni di età.

La ditta ha ritirato la domanda il 9 novembre 2022.

### **Che cos'è Imbarkyd e per che cosa avrebbe dovuto essere usato?**

Imbarkyd è stato sviluppato come medicinale per la malattia renale cronica causata dalla sindrome di Alport. Era destinato ad adulti e adolescenti a partire dai 12 anni di età.

Imbarkyd contiene il principio attivo bardoxolone metile e avrebbe dovuto essere disponibile sotto forma di capsule da assumere per via orale.

Imbarkyd è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 25 maggio 2018 per la malattia renale cronica causata dalla sindrome di Alport. Ulteriori informazioni sulla designazione di medicinale orfano sono disponibili sul sito web dell'Agenzia: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3182019](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3182019).

### **Come agisce Imbarkyd?**

Bardoxolone metile, il principio attivo di Imbarkyd, attiva il fattore di trascrizione Nrf2, una proteina che regola determinati geni coinvolti nell'infiammazione. Nei pazienti con malattia renale cronica causata dalla sindrome di Alport l'attività di Nrf2 è spesso alterata. Pertanto, era atteso che Imbarkyd ristabilisse la funzione renale e attenuasse i sintomi dei pazienti.

### **Quale documentazione ha presentato la ditta a sostegno della domanda?**

La ditta ha presentato i risultati di uno studio principale condotto su 157 pazienti affetti da malattia renale cronica da lieve a moderata causata dalla sindrome di Alport. Lo studio ha esaminato il tasso di filtrazione glomerulare stimato, una misura del funzionamento dei reni. Il trattamento con Imbarkyd è stato confrontato con placebo (trattamento fittizio).

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



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

La domanda è stata ritirata dopo che l'Agenzia europea per i medicinali aveva valutato le informazioni fornite dalla ditta e preparato domande da sottoporle. Dopo la valutazione da parte dell'Agenzia delle risposte della ditta all'ultima serie di domande, alcuni problemi erano rimasti irrisolti.

## **Qual era la raccomandazione dell'Agenzia a quel punto?**

In base all'esame dei dati e delle risposte fornite dalla ditta alle domande poste dall'Agenzia, al momento del ritiro della domanda, l'Agenzia aveva alcuni dubbi ed era provvisoriamente del parere che Imbarkyd non potesse essere autorizzato per il trattamento della malattia renale cronica causata dalla sindrome di Alport.

Dai dati forniti dal richiedente non era chiaro in che modo bardoxolone fosse metabolizzato nell'organismo e se i prodotti finali del medicinale potessero incidere sulla salute dei pazienti. Lo studio non ha dimostrato in modo convincente un effetto benefico prolungato di bardoxolone sulla funzione renale in pazienti affetti da sindrome di Alport e sono emerse preoccupazioni circa i potenziali effetti negativi sulla funzione renale e cardiaca.

Pertanto, al momento del ritiro della domanda, l'Agenzia riteneva che i benefici di Imbarkyd non fossero superiori ai suoi rischi.

## **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 di aver ritirato la domanda in quanto l'Agenzia riteneva che attualmente i dati forniti non consentissero di concludere in favore di un rapporto rischi/benefici positivo.

## **Il ritiro della domanda incide sui pazienti inseriti in studi clinici?**

La ditta ha informato l'Agenzia che non vi sono conseguenze per i pazienti inseriti in studi clinici con Imbarkyd.

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