



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

18 ottobre 2019
EMA/559309/2019
EMA/H/C/004468

Rifiuto dell'autorizzazione all'immissione in commercio per Vanflyta (quizartinib)

L'Agenzia europea per i medicinali ha raccomandato il rifiuto dell'autorizzazione all'immissione in commercio per Vanflyta, un medicinale destinato al trattamento di adulti affetti da leucemia mielogenica acuta (AML) (un cancro dei globuli bianchi).

Il 17 ottobre 2019 l'Agenzia ha adottato un parere. La ditta che ha richiesto l'autorizzazione, Daiichi Sankyo Europe GmbH, può chiedere il riesame del parere entro 15 giorni dal ricevimento dello stesso.

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

Vanflyta è stato sviluppato come medicinale antitumorale per il trattamento di un tipo di AML denominata "FLT3-ITD positiva" (nel caso in cui le cellule tumorali abbiano subito una determinata mutazione nel gene di una proteina denominata FLT3). Vanflyta avrebbe dovuto essere usato in pazienti adulti nei quali la malattia era ricomparsa o non aveva risposto a precedenti trattamenti e per la prosecuzione del trattamento dopo che il paziente era stato sottoposto a un trapianto di cellule staminali ematopoietiche (HSCT, un trapianto di cellule che può trasformarsi in diversi tipi di cellule ematiche).

Vanflyta contiene il principio attivo quizartinib e avrebbe dovuto essere disponibile sotto forma di compresse.

Vanflyta è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 23 marzo 2009 per il trattamento della AML. Maggiori informazioni sulla qualifica di medicinale orfano sono disponibili sul sito web dell'Agenzia: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu309622.

Come agisce Vanflyta?

Il principio attivo di Vanflyta, quizartinib, è un "inibitore del recettore della tirosin-chinasi". Agisce bloccando FLT3, una proteina coinvolta nella crescita e nella proliferazione cellulare. Bloccando FLT3, quizartinib dovrebbe impedire alle cellule tumorali di moltiplicarsi e, di conseguenza, rallentare la progressione della malattia.



Quale documentazione ha presentato la ditta a sostegno della domanda?

La ditta ha presentato i risultati di uno studio condotto su 367 pazienti affetti da AML FLT3-ITD positiva, nei quali la malattia non aveva risposto al trattamento o era ricomparsa dopo di esso. Vanflyta è stato confrontato con altri medicinali antitumorali e il principale parametro dell'efficacia è stato la sopravvivenza globale (il tempo di sopravvivenza dei pazienti) dopo la somministrazione di Vanflyta o dei medicinali di confronto.

Quali sono stati i motivi principali per il rifiuto dell'autorizzazione all'immissione in commercio?

Sebbene i risultati dello studio principale indicassero un miglioramento marginale della sopravvivenza globale per i pazienti cui era stato somministrato Vanflyta, lo studio presentava importanti limitazioni, il che significava che l'efficacia di Vanflyta non poteva essere sufficientemente dimostrata.

Pertanto, l'Agenzia ha ritenuto che i benefici di Vanflyta non fossero superiori ai rischi e ha raccomandato il rifiuto dell'autorizzazione all'immissione in commercio.

Il rifiuto influisce sui pazienti inseriti in studi clinici o in programmi di uso compassionevole?

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

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 dello studio clinico.