



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2022 m. balandžio 22 d.
EMA/219136/2022
EMA/H/C/005433

Paraiškos gauti Miplyffa (arimoklomolo) registracijos pažymėjimą atsiėmimas

Bendrovė „Orphazyme A/S“ atsiėmė savo paraišką gauti Miplyffa, skirtą 2 metų ir vyresnių pacientų, sergančių C tipo Nimano-Piko (angl. *Niemann-Pick*) liga, gydymui, kai šis vaistas vartojamas kartu su miglustatu (kitu C tipo Nimano-Piko ligai gydyti skirtu vaistu), registracijos pažymėjimą.

Bendrovė atsiėmė paraišką 2022 m. kovo 22 d.

Kas yra Miplyffa ir kokiais atvejais jį buvo numatyta vartoti?

Miplyffa buvo skirtas gydyti 2 metų ir vyresnius pacientus, sergančius C tipo Nimano-Piko liga, t. y. liga, priklausančia paveldimų sutrikimų grupei, esančiai didesnės lizosomų kaupimo ligomis, kai dėl dviejų genų, vadinamų *NPC1* ir *NPC2*, pokyčių riebalai kaupiasi lizosomose (maistines ir kitas medžiagas skaidančiose kūno ląstelių dalyse), vadinamų metabolinių sutrikimų grupės dalimi.

Miplyffa sudėtyje yra veikliosios medžiagos arimoklomolo, ir jį buvo numatoma tiekti per burną vartojamų kapsulių forma.

Miplyffa 2014 m. lapkričio 19 d. pagal C tipo Nimano-Piko ligos gydymo indikaciją buvo priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai. Daugiau informacijos apie vaistų priskyrimą retųjų vaistų kategorijai rasite Agentūros tinklalapyje adresu:

ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141376

Kaip veikia Miplyffa?

Sergant C tipo Nimano-Piko liga dėl riebalinių medžiagų kaupimosi lizosomose mažėja šių gebėjimas normaliai veikti ir dėl to lizosomas juosianti membrana tampa nestabili. Veikliosios Miplyffa medžiagos arimoklomolo paskirtis – paskatinti natūralius ląstelės mechanizmus atitaisyti žalą, t. y. padidinti šiluminio šoko baltymais vadinamų baltymų gamybą streso paveiktose ląstelėse. Manoma, kad šie baltymai padeda stabilizuoti *NPC1* geno ir lizosomas juosiančioje membranoje gaminamą baltymą ir taip pagerinti lizosomų gebėjimą veikti ir skaidyti tam tikrus riebalus. Tai turėtų padėti išvengti riebalų kaupimosi lizosomose ir palengvinti ligos simptomus, kaip antai elgesio sunkumus, mokymosi sutrikimus ir judėjimo bei kalbėjimo sunkumus.

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



Kokius dokumentus bendrovė pateikė kartu su paraiška?

Bendrovė pateikė vieno pagrindinio tyrimo, kurio metu buvo vertinamas Miplyffa veiksmingumas siekiant sulėtinti ligos progresavimą laikui bėgant, rezultatus. Tyrimo rezultatai buvo pagrįsti 50 pacientų nuo 2 iki 18 metų, kuriems vienus metus be įprastos klinikinės priežiūros (įskaitant miglustatą, kai taikytina) buvo skiriamas Miplyffa arba placebo (preparatas be veikliosios medžiagos). Veiksmingumas buvo vertinamas pagal standartinę skalę (5 sričių NPCCSS), pagal kurią laikui bėgant buvo registruojamas simptomų sunkumas.

Bendrovė taip pat pateikė iš ankstyvos galimybės gauti vaistus programos gautus duomenis, kai Miplyffa buvo skiriamas kartu su miglustatu arba be jo.

Kuriuo paraiškos nagrinėjimo etapu paraiška atsiimta?

Paraiška atsiimta, kai Europos vaistų agentūra jau buvo įvertinusi bendrovės pateiktą informaciją ir parengusi bendrovei skirtus klausimus. Agentūrai įvertinus bendrovės atsakymus į paskutinį kartą pateiktus klausimus, vis dar buvo likę neišspręstų klausimų.

Kokia tuo metu buvo Agentūros rekomendacija?

Remdamasi peržiūrėta turima informacija, paraiškos atsiėmimo metu Agentūra turėjo abejonių ir buvo priėmusi negalutinę nuomonę, kad Miplyffa negali būti registruotas C tipo Nimano-Piko ligos gydymui.

Agentūra laikėsi nuomonės, jog šio tyrimo rezultatų nepakanka, kad būtų galima įrodyti, jog Miplyffa veiksmingai malšina su C tipo Nimano-Piko liga susijusius simptomus arba stabdo ligos progresavimą tiek trumpuoju, tiek ilguoju laikotarpiu (po vieno metų ir vėliau). Visų pirma Agentūra turėjo abejonių dėl to, kaip buvo pasiūlyta aiškinti tyrimo rezultatus. Be to, miglustato derinio su Miplyffa nauda nebuvo patvirtinta.

Todėl paraiškos atsiėmimo metu Agentūra negalėjo padaryti teigiamos išvados dėl Miplyffa veiksmingumo gydant C tipo Nimano-Piko ligą ir laikėsi nuomonės, kad pagal šią indikaciją vartojamo Miplyffa nauda nėra didesnė už jo keliamą riziką.

Kokias paraiškos atsiėmimo priežastis nurodė bendrovė?

[Laiške](#), kuriuo Agentūrai pranešta apie paraiškos atsiėmimą, bendrovė nurodė savo paraišką atsiimanti dėl EMA išreikštų abejonių ir remdamasi savo vertinimu, kad šių abejonių nebuvo galima išspręsti per turimą laiką.

Ar ši rekomendacija turės įtakos pacientams, dalyvaujantiems klinikiniuose tyrimuose?

Bendrovė pranešė Agentūrai, kad šios paraiškos atsiėmimas neturės jokių pasekmių pacientams, dalyvaujantiems klinikiniuose tyrimuose, kurių metu vartojamas Miplyffa.

Jei dalyvaujate klinikiniame tyrime ir pageidaujate gauti daugiau informacijos apie jums taikomą gydymą, pasikalbėkite su savo klinikinio tyrimo gydytoju.