



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2020 m. rugsėjo 18 d.
EMA/529861/2020
EMA/H/C/5004

Paraiškos gauti Upkanz (deferiprono) registracijos pažymėjimą atsiėmimas

„Apotex B.V.“ atsiėmė savo paraišką gauti Upkanz, skirtą gydyti su pantotenato kinaze siejamą neurodegeneraciją, registracijos pažymėjimą.

Bendrovė paraišką atsiėmė 2020 m. rugpjūčio 10 d.

Kas yra Upkanz ir kokiais atvejais jį buvo numatyta vartoti?

Upkanz buvo sukurtas kaip vaistas, skirtas gydyti su pantotenato kinaze siejamą neurodegeneraciją (PKAN), kuri yra reta paveldima liga, sukelianti vis didesnę žalą smegenims ir galinti sukelti, pavyzdžiui, distoniją (nevalingus raumenų susitraukimus), parkinsonizmą ir demenciją. Pirmieji ligos požymiai atsiranda vaikystėje.

Upkanz sudėtyje yra veikliosios medžiagos deferiprono ir jį buvo numatyta tiekti per burną vartojamo skysčio forma.

Upkanz 2018 m. birželio 27 d. priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai pagal neurodegeneracijos smegenyse kaupiantis geležiai gydymo indikaciją. Daugiau informacijos apie vaistų priskyrimą retųjų vaistų kategorijai rasite Agentūros tinklalapyje adresu:

ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3182034.

Kaip veikia Upkanz?

Pacientų, kuriems diagnozuota PKAN, smegenų dalyse, įskaitant dalyvaujančius judesių valdyme, kaupiasi geležis. Toks geležies perteklius daro žalą. Upkanz veiklioji medžiaga deferipronas yra geležies kompleksonas, t. y. organizme jungiasi su geležimi. Taip užkertamas kelias geležies daromai žalai ir ji pašalinama iš organizmo, daugiausia su šlapimu. Buvo tikimasi, kad patekęs į smegenis deferipronas padės išvengti geležies kaupimosi smegenų ląstelėse ir taip sumažinti smegenims daromą žalą.

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 pristatė pagrindinio tyrimo, kuriame dalyvavo 89 PKAN sergantys pacientai nuo 4 metų amžiaus, rezultatus. Atliekant tyrimą, Upkanz vartojančių pacientų distonijos sunkumo pokyčiai buvo lyginami su pacientų, gaunančių placebą (preparatą be veikliosios medžiagos), rezultatais.

Kuriuo paraiškos nagrinėjimo etapu paraiška atsiimta?

Paraiška atsiimta, kai Europos vaistų agentūra jau buvo įvertinusi bendrovės pateiktą informaciją ir parengusi bendrovei skirtus klausimus. Paraiškos atsiėmimo metu bendrovė dar nebuvo atsakiusi į paskutinį kartą pateiktus klausimus.

Kokia tuo metu buvo Agentūros rekomendacija?

Remdamasi peržiūrėta informacija ir bendrovės atsakymais į Agentūros parengtus klausimus, paraiškos atsiėmimo metu Agentūra dar turėjo abejonių ir buvo priėmusi negalutinę nuomonę, kad Upkanz negali būti registruotas PKAN gydymui. Visų pirma, Agentūrai kėlė susirūpinimą tai, kad iš pagrindinio tyrimo nėra aišku, kad vaistas – veiksmingas.

Todėl paraiškos atsiėmimo metu Agentūra laikėsi nuomonės, kad neįrodžius vaisto veiksmingumo Upkanz teikiama nauda nėra didesnė už jo keliamą riziką.

Kokias paraiškos atsiėmimo priežastis nurodė bendrovė?

[Laiške](#), kuriuo Agentūrai buvo pranešta apie paraiškos atsiėmimą, bendrovė nurodė, kad vaistą perdavus kitai bendrovei jo tobulinimas ir pateikimas rinkai vertinami iš naujo.

Ar šios paraiškos atsiėmimas turės įtakos pacientams, dalyvaujantiems klinikiniuose tyrimuose arba labdaringo vartojimo programose?

Bendrovė pranešė Agentūrai, kad tai neturės jokių pasekmių klinikiniuose tyrimuose arba labdaringo vartojimo programose dalyvaujantiems, Upkanz vartojantiems pacientams.