

2017 m. kovo 24 d.
EMA/192276/2017
EMA/H/C/004193

Klausimai ir atsakymai

Paraiškos gauti Enpaxiq (pakritinibo) registracijos pažymėjimą atsiėmimas

2017 m. vasario 20 d. bendrovė „CTI BioPharma“ oficialiai pranešė Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komitetui (CHMP) apie savo pageidavimą atsiimti paraišką gauti vaisto Enpaxiq, skirtą gydyti pacientus, kuriems diagnozuota padidėjusi blužnis arba kiti mielofibrozę simptomai, registracijos pažymėjimą.

Kas yra Enpaxiq?

Enpaxiq – tai vaistas, kurio sudėtyje yra veikliosios medžiagos pakritinibo. Vaistą buvo numatyta tiekti geriamųjų kapsulių forma.

Kokiais atvejais buvo numatyta vartoti Enpaxiq?

Enpaxiq buvo numatyta gydyti pacientus, kuriems diagnozuota padidėjusi blužnis arba kiti mielofibrozę – sutrikimo, dėl kurio kaulų čiulpai, kuriuose gaminami kraujo kūneliai, surandėja – simptomai.

Pagal įvairių rūšių mielofibrozę gydymo indikaciją Enpaxiq 2010 m. rugpjūčio 25 d. buvo priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai. Daugiau informacijos apie šio vaisto priskyrimą retųjų vaistų kategorijai rasite [čia](#).

Kaip veikia Enpaxiq?

Veiklioji Enpaxiq medžiaga pakritinibas slopina JAK2 ir FLT3 – du baltymus, kurie dalyvauja kraujo kūnelių gamybos ir augimo procese. Sergant mielofibroze, pacientų organizme pasigamina pernelyg daug šių baltymų, dėl to gaminami nebrandūs kraujo kūneliai, kurių dalis pernešama į tokius organus

kaip blužnis, todėl jie padidėja. Slopindamas šiuos baltymus, Enpaxiq turėtų sulėtinti nebrandžių kraujo kūnelių gamybą ir taip padėti malšinti ligos simptomus.

Kokius dokumentus bendrovė pateikė kartu su paraiška?

Bendrovė pateikė pagrindinio tyrimo, kuriame dalyvavo 327 mielofibroze sergantys pacientai, duomenis; atliekant tyrimą, buvo skaičiuojama keliems pacientams po 24 gydymo savaitių blužnies dydis sumažėjo bent 35 proc. Atliekant šį tyrimą, Enpaxiq poveikis buvo lyginamas su vadinamąja geriausia esama terapija, t. y. gydymu vaistais, kurie neveikia JAK baltymų, kaip antai hidroksikarbamidu arba pagalbinėmis gydymo priemonėmis.

Kuriuo paraiškos nagrinėjimo etapu paraiška atsiimta?

Paraiška atsiimta, kai CHMP buvo įvertinęs bendrovės pateiktus pirminius dokumentus ir parengęs klausimų sąrašą. Paraiškos atsiėmimo metu bendrovė dar nebuvo atsakiusi į šiuos klausimus.

Kokia tuo metu buvo CHMP rekomendacija?

Paraiškos atsiėmimo metu CHMP buvo priėmęs negalutinę nuomonę, kad Enpaxiq negali būti registruotas mielofibrozę gydymui.

Komitetas turėjo keletą abejonių dėl to, kad vartojant Enpaxiq, blužnies dydžio sumažėjimas (atliekant šį tyrimą tai buvo pagrindinis vaisto veiksmingumo rodiklis) buvo mažesnis, nei vartojant kitą tos pačios klasės vaistą, o simptomų vertinimas balais nepagerėjo; be to, Enpaxiq gydytų pacientų grupėje sumažėjusio trombocitų kiekio (dėl kurio gali prasidėti kraujavimas) atvejų ir mirties, įskaitant mirtį dėl kraujavimo ar poveikio širdžiai, atvejų, buvo daugiau nei pacientų, kuriems taikyta geriausia terapija, grupėje.

Be kita ko, CHMP atkreipė dėmesį į tai, kad reikia pateikti daugiau informacijos apie pradines medžiagas, iš kurių gaminamas Enpaxiq, ir apie tai, kaip šis vaistas veikia tam tikrus žmogaus organizme gaminamus tikslinius baltymus.

Atsižvelgdamas į šiuos rūpestį keliančius klausimus, komitetas laikėsi nuomonės, jog neįrodyta, kad Enpaxiq nauda būtų didesnė už jo keliamą riziką.

Kokias paraiškos atsiėmimo priežastis nurodė bendrovė?

Savo laiške agentūrai bendrovė nurodė savo paraišką atsiimanti dėl to, kad šios paraiškos pateikimo procedūros metu jai nepakanka laiko pateikti naujus antro pagrindinio Enpaxiq tyrimo duomenis. Bendrovė teigė, kad naujus šio tyrimo duomenis ketina įtraukti į šiuo metu parengtą savo dokumentų rinkinį, o tada ketina kreiptis į EMA, kad galėtų aptarti naują paraišką. Laišką dėl paraiškos atsiėmimo galima rasti [čia](#).

Kokių pasekmių paraiškos atsiėmimas turės pacientams, dalyvaujantiems klinikiniuose tyrimuose arba labdaringo vartojimo programose?

Bendrovė informavo CHMP, kad paraiškos atsiėmimas neturės pasekmių šiuo metu Enpaxiq klinikiniuose tyrimuose arba labdaringo vartojimo programose dalyvaujantiems pacientams.

Jeigu dalyvaujate klinikiniame tyrime arba labdaringo vartojimo programoje ir pageidaujate gauti daugiau informacijos apie Jums taikomą gydymą, kreipkitės į Jus gydantį gydytoją.