



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2022 m. gruodžio 16 d.
EMA/913652/2022
EMA/H/C/005869

Paraiškos gauti Imbarkyd (bardoksolono) registracijos pažymėjimą atsiėmimas

Bendrovė „Reata Ireland Limited“ atsiėmė savo paraišką gauti Imbarkyd, skirtą Alporto sindromo sukeltos lėtinės inkstų ligos gydymui suaugusiesiems ir vaikams nuo 12 metų, registracijos pažymėjimą.

Bendrovė paraišką atsiėmė 2022 m. lapkričio 9 d.

Kas yra Imbarkyd ir kokiais atvejais jį buvo numatyta vartoti?

Imbarkyd buvo sukurtas kaip vaistas, skirtas gydyti Alporto sindromo sukeltą lėtinę inkstų ligą. Šis vaistas turėjo būti skiriamas suaugusiesiems ir vaikams nuo 12 metų.

Imbarkyd sudėtyje yra veikliosios medžiagos bardoksolono metilo, ir jį buvo numatoma tiekti per burną vartojamų kapsulių forma.

2018 m. gegužės 25 d. Imbarkyd priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai pagal Alporto sindromo sukeltos lėtinės inkstų ligos gydymo indikaciją. Daugiau informacijos apie vaistų priskyrimą retųjų vaistų kategorijai rasite Agentūros tinklalapyje adresu: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3182019.

Kaip veikia Imbarkyd?

Imbarkyd veiklioji medžiaga bardoksolono metilas aktyvina transkripcijos faktorių Nrf2 – baltymą, kuris reguliuoja tam tikrus uždegimą sukeliančius genus. Alporto sindromo sukelta lėtine inkstų liga sergančių pacientų Nrf2 aktyvumas dažnai būna pakitęs. Todėl buvo tikimasi, kad Imbarkyd atkurs inkstų funkciją ir palengvins pacientams pasireiškiančius simptomus.

Kokius dokumentus bendrovė pateikė kartu su paraiška?

Bendrovė pateikė pagrindinio tyrimo, kuriame dalyvavo 157 pacientai, sergantys Alporto sindromo sukelta lengva arba vidutinio sunkumo lėtine inkstų liga, rezultatus. Tyrimo metu buvo vertinamas apskaičiuotasis glomerulų filtracijos greitis, inkstų veiklos rodiklis. Gydymo Imbarkyd poveikis buvo lyginamas su placebo (preparato be veikliosios medžiagos).

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



Kuriuo paraiškos nagrinėjimo etapu paraiška atsiimta?

Paraiška atsiimta, kai Europos vaistų agentūra 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 peržiūrėtais duomenimis ir bendrovės atsakymais į Agentūros parengtus klausimus, paraiškos atsiėmimo metu Agentūra dar turėjo abejonių ir buvo priėmusi negalutinę nuomonę, kad Imbarkyd negali būti registruojamas Alporto sindromo sukeltos lėtinės inkstų ligos gydymui.

Iš pareiškėjo pateiktų duomenų nebuvo aišku, kaip bardoksolonas skaidomas organizme, ir ar galutiniai vaisto preparatai gali turėti poveikį pacientų sveikatai. Šio tyrimo metu nepavyko įtikinamai įrodyti ilgalaikio teigiamo bardoksolono poveikio Alporto sindromu sergančių pacientų inkstų funkcijai, ir iškilo abejonių dėl galimo neigiamo poveikio inkstų ir širdies veiklai.

Todėl paraiškos atsiėmimo metu Agentūra laikėsi nuomonės, kad Imbarkyd teikiama 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 to, kad, Agentūros nuomone, pateikti duomenys šiuo metu neleidžia padaryti išvados, jog naudos ir rizikos santykis yra teigiamas.

Ar šios paraiškos atsiėmimas turės įtakos pacientams, dalyvaujantiems klinikiniuose tyrimuose?

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

Jei dalyvaujate klinikiniame tyrime ir pageidaujate gauti daugiau informacijos apie Jums taikomą gydymą, kreipkitės į klinikinio tyrimo gydytoją.