



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2020. gada 18. septembris
EMA/529862/2020
EMA/H/C/5004

Upkanz (deferiprona) reģistrācijas apliecības pieteikuma atsaukšana

Uzņēmums *Apotex B.V.* atsauca zāļu *Upkanz* reģistrācijas apliecības pieteikumu. Šīs zāles izmanto ar pantotenāta kināzi saistītas neirodeģenerācijas ārstēšanai.

Uzņēmums pieteikumu atsauca 2020. gada 10. augustā.

Kas ir *Upkanz* un kādam nolūkam tās bija paredzēts lietot?

Upkanz tika izstrādātas kā zāles ar pantotenāta kināzi saistītas neirodeģenerācijas (*PKAN*) ārstēšanai. Tā ir reta pārmantota slimība, kas rada pieaugošus bojājumus galvas smadzenēs un var izraisīt tādus stāvokļus kā distoniju (nekontrolētas muskuļu kustības), Parkinsona slimību un demenci. Pirmās slimības pazīmes attīstās bērnībā.

Upkanz satur aktīvo vielu deferipronu, un bija paredzēts, ka šīs zāles būs pieejamas kā iekšķīgi lietojams šķidrums.

Upkanz 2018. gada 27. jūnijā tika piešķirts retu slimību ārstēšanai paredzētu zāļu statuss neirodeģenerācijas ar dzelzs nogulsņēšanos smadzenēs ārstēšanai. Sīkāka informācija par retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu statusa piešķiršanu ir atrodamā Eiropas Zāļu aģentūras tīmekļa vietnē: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3182034.

Kā *Upkanz* darbojas?

Pacienti ar *PKAN* notiek dzelzs nogulsņēšanās galvas smadzeņu daļās, arī tajās, kas iesaistītas kustību kontrolē. Pārmērīgais dzelzs daudzums izraisa bojājumus. *Upkanz* aktīvā viela deferiprons ir dzelzs helātu veidotājs, proti, tas organismā piesaistās pie dzelzs. Tas neļauj dzelzij vairs radīt bojājumus un ļauj izvadīt to no organisma, galvenokārt ar urīnu. Bija paredzēts, ka deferiprons iekļūs smadzenēs un palīdzēs novērst dzelzs nogulsņēšanos smadzeņu šūnās, lai tādējādi mazinātu smadzeņu bojājumus.



Kādus dokumentus uzņēmums iesniedza pieteikuma pamatošanai?

Uzņēmums iesniedza rezultātus no pamatpētījuma, kurā piedalījās 89 pacienti no 4 gadu vecuma ar *PKAN*. Pētījumā tika salīdzināta distonijas smaguma pakāpe pacientiem, kuri saņēma *Upkantz*, un pacientiem, kuri saņēma placebo (zāļu imitāciju).

Kurā pieteikuma vērtēšanas posmā pieteikumu atsauca?

Pieteikumu atsauca, kad Eiropas Zāļu aģentūra bija izvērtējusi uzņēmuma iesniegto informāciju un sagatavojusi jautājumu sarakstu uzņēmumam. Atsaukšanas brīdī uzņēmums nebija sniedzis atbildes uz pēdējā posma jautājumiem.

Kāds bija aģentūras ieteikums tajā laikā?

Pamatojoties uz izskatītajiem datiem un uzņēmuma atbildēm uz aģentūras jautājumiem, atsaukšanas brīdī aģentūrai bija daži iebildumi, un aģentūra tobrīd provizoriski atzina, ka *Upkantz* nevarēja apstiprināt *PKAN* ārstēšanai. Aģentūrai īpaši bija iebildumi par to, ka pamatpētījumā netika skaidri pierādīta zāļu efektivitāte.

Tāpēc atsaukšanas brīdī aģentūra uzskatīja, ka *Upkantz* sniegtie ieguvumi neatsver to radīto risku, jo nav pierādīta to efektivitāte.

Kā uzņēmums pamatoja pieteikuma atsaukšanu?

[Vēstulē](#), kurā uzņēmums informēja aģentūru par pieteikuma atsaukšanu, tas paziņoja, ka pēc zāļu nodošanas citam uzņēmumam tika pārvērtēta to izstrāde un tirgvedība.

Vai šis atsaukums ietekmēs pacientus, kuri piedalās klīniskajos pētījumos vai līdzcietīgas zāļu lietošanas programmās?

Uzņēmums informēja aģentūru, ka pacientus, kuri pašlaik piedalās *Upkantz* klīniskajos pētījumos vai līdzcietīgas zāļu lietošanas programmā, tas neietekmēs.