



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2017. gada 24. marts
EMA/192276/2017
EMA/H/C/004193

Jautājumi un atbildes

Enpaxiq (pakritiniba) reģistrācijas apliecības pieteikuma atsaukšana

Uzņēmums *CTI BioPharma* 2017. gada 20. februārī oficiāli informēja Cilvēkiem paredzēto zāļu komiteju (*CHMP*) par savu lēmumu atsaukt *Enpaxiq* reģistrācijas apliecības pieteikumu. Šīs zāles izmanto, lai ārstētu pacientus ar palielinātu liesu vai citiem mielofibrozes simptomiem.

Kas ir *Enpaxiq*?

Enpaxiq ir zāles, kas satur aktīvo vielu pakritinibu. Tām bija jābūt pieejamām iekšķīgi lietojamu kapsulu veidā.

Kādam nolūkam bija paredzēts lietot *Enpaxiq*?

Enpaxiq bija paredzētas lietošanai pacientu ar palielinātu liesu vai citiem mielofibrozes simptomiem ārstēšanā. Mielofibroze ir slimība, kad rētaudi uzkrājas kaulu smadzenēs, kur tiek ražotas asins šūnas.

Enpaxiq 2010. gada 25. augustā tika apstiprinātas par zālēm retu slimību ārstēšanai, ko lieto dažādu mielofibrozes veidu ārstēšanā. Sīkāka informācija par zāļu apzīmējumu reti sastopamu slimību ārstēšanai ir pieejama [šeit](#).

Kā *Enpaxiq* darbojas?

Enpaxiq aktīvā viela pakritinibs bloķē JAK2 un FLT3 darbību, kas ir divi proteīni, kuri iesaistīti asins šūnu ražošanā un attīstībā. Pacientiem ar mielofibrozi ir pārāk liels šo proteīnu daudzums, kas izraisa nenobrieduš asins šūnu ražošanu, no kurām daļa migrē uz tādiem orgāniem kā liesu, izraisot tās palielināšanos. Bloķējot šos proteīnus, paredzams, ka *Enpaxiq* palēnina nenobrieduš asins šūnu ražošanu un tādējādi palīdz samazināt slimības simptomus.



Kādus dokumentus uzņēmums iesniedza pieteikuma pamatošanai?

Uzņēmums uzrādīja datus no pamatpētījuma, kurā piedalījās 327 pacienti ar mielofibrozi, kuriem liesas izmērs samazinājās vismaz par 35 % pēc 24 nedēļu ilgas ārstēšanas. Pētījumā salīdzināja *Enpaxiq* ar labāko pieejamo terapiju, kurā lietoja zāles, kas neiedarbojas uz JAK proteīniem, piemēram, hidroksiurīnvielu vai atbalsta terapiju.

Kurā pieteikuma vērtēšanas posmā pieteikumu atsauc?

Pieteikumu atsauc, kad *CHMP* bija izvērtējusi uzņēmuma sākotnēji iesniegtos dokumentus un sagatavojusi jautājumu sarakstu. Pieteikuma atsaukšanas brīdī uzņēmums vēl nebija sniedzis atbildes uz jautājumiem.

Kāds bija *CHMP* ieteikums tajā laikā?

Pieteikuma atsaukšanas brīdī *CHMP* deva pagaidu atzinumu, ka *Enpaxiq* nevar tikt apstiprinātas mielofibrozes ārstēšanai.

Komiteja norādīja uz vairākām bažām: liesas izmēra (galvenais pētījuma efektivitātes rādītājs) samazinājums bija mazāks ar *Enpaxiq* nekā ar citām tās pašas klases zālēm bez simptomu rādītāju uzlabojumiem; zema trombocītu līmeņa asinīs (kas var izraisīt asiņošanu) gadījumu skaits bija lielāks pacientiem, kuri ārstēti ar *Enpaxiq*, un pacientiem, kuri lietoja *Enpaxiq*, konstatēja lielāku nāves gadījumu skaitu nekā tiem, kuri saņēma labāko pieejamo terapiju, tostarp nāves gadījumus saistībā ar asiņošanu un ietekmi uz sirdi.

Turklāt *CHMP* norādīja, ka bija nepieciešama plašāka informācija par izejmateriāliem, ko izmanto *Enpaxiq* ražošanā, un par zāļu iedarbību uz noteiktiem mērķa proteīniem organismā.

Pamatojoties uz šīm bažām, Komiteja uzskatīja, ka *Enpaxiq* sniegtie ieguvumi neatsver to radīto risku.

Kā uzņēmums pamatoja pieteikuma atsaukšanu?

Vēstulē aģentūrai uzņēmums norādīja, ka atsauc pieteikumu, jo nav bijis pietiekami daudz laika pašreizējā pieteikuma procedūrā iesniegt jaunus datus no otra pamatpētījuma ar *Enpaxiq*. Uzņēmums norādīja, ka tā mērķis ir iekļaut jaunus pētījuma datus pašreizējā dokumentācijā pirms jauna pieteikuma iesniegšanas izskatīšanai *EMA*. Atsaukšanas vēstule ir pieejama [šeit](#).

Kādas sekas šis atsaukums radīs pacientiem, kuri piedalās klīniskajos pētījumos vai līdzcietīgas zāļu lietošanas programmās?

Uzņēmums informēja *CHMP*, ka nav seku pacientiem, kuri pašlaik piedalās *Enpaxiq* klīniskajos pētījumos vai līdzcietīgas zāļu lietošanas programmās.

Ja Jūs pašlaik piedalāties klīniskajā pētījumā vai līdzcietīgas zāļu lietošanas programmā un vēlaties saņemt plašāku informāciju par terapiju, jautājiet ārstam, kas Jums to izraksta.