



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2014. gada 24. janvāris
EMA/33514/2014
EMA/H/C/002683

Jautājumi un atbildes

Zāļu *Winfuran* (nalfurafīna) reģistrācijas apliecības pieteikuma atsaukšana

Uzņēmums *Toray International U.K. Limited* 2014. gada 17. janvārī oficiāli informēja Cilvēkiem paredzēto zāļu komiteju (*CHMP*) par savu lēmumu atsaukt zāļu *Winfuran* reģistrācijas apliecības pieteikumu. Šīs zāles tiek izmantotas smagas urēmiskas niezes (niezes paveida) ārstēšanai pacientiem ar terminālas stadijas nieru slimību, kuriem veic dialīzi.

Kas ir *Winfuran*?

Winfuran ir zāles, kas satur aktīvo vielu nalfurafīnu. Bija paredzēts, ka tās būs pieejamas kā koncentrāts vēnā ievadāma infūziju šķīduma pagatavošanai.

Kādam nolūkam bija paredzēts lietot *Winfuran*?

Winfuran bija paredzēts lietot, lai ārstētu pacientus, kuriem ir smaga urēmiska nieze. Urēmiska nieze ir pastāvīga niezes forma, kas rodas dažiem pacientiem, kuru nieres nedarbojas pilnvērtīgi. *Winfuran* bija paredzētas lietot pacientiem ar terminālas stadijas nieru slimību (kad nieru darbība ir pilnībā izzudusi), kuriem veic dialīzi (metode, ko izmanto atliekvielu izvadīšanai no asinīm).

Winfuran 2002. gada 11. septembrī tika apstiprinātas kā zāles retu slimību ārstēšanai, lai ārstētu urēmisku niezi. Sīkāka informācija ir pieejama [šeit](#).

Kāda ir paredzamā *Winfuran* iedarbība?

Lai gan precīzs urēmiskās niezes cēlonis nav zināms, uzskata, ka nieze ir saistīta ar pārmērīgu noteiktu galvas smadzenēs un ādā esošu receptoru (kurus dēvē par μ -opioīdu receptoriem) aktivitāti. *Winfuran* aktivizē dažādus opioīdu receptorus, kurus dēvē par κ -receptoriem un kuri bloķē μ -opioīdu receptoru darbību, līdz ar to mazinot niezēšanu pacientiem ar urēmisku niezi.



Kādus dokumentus uzņēmums iesniedza pieteikuma pamatošanai?

Pirms pētījumiem ar cilvēkiem *Winfuran* ietekmi vispirms pārbaudīja eksperimentālos modeļos.

Winfuran ietekmi salīdzināja ar placebo (neīstu ārstēšanas līdzekli) vienā pamatpētījumā, iesaistot 339 pacientus ar urēmisku niezi, kuriem regulāri veica dialīzi. Galvenais efektivitātes rādītājs bija simptomu, piemēram, niezes intensitātes un miega traucējumu, izmaiņas pēc četrām ārstēšanas nedēļām, pamatojoties uz standarta vērtēšanas sistēmu.

Kurā pieteikuma vērtēšanas posmā pieteikumu atsauca?

Izvērtēšana tika pabeigta, un *CHMP* deva negatīvu atzinumu.

Kāds bija *CHMP* ieteikums tajā laikā?

Pamatojoties uz izskatītajiem datiem, atsaukšanas brīdī *CHMP* bija devusi negatīvu atzinumu, iesakot atteikt reģistrācijas apliecības izsniegšanu *Winfuran*, kas paredzētas smagas urēmiskas niezes ārstēšanai.

CHMP galvenās bažas bija saistītas ar to, ka *Winfuran* ieguvumi urēmiskās niezes ārstēšanā nav pietiekami pierādīti. Pamatpētījumā neizdevās pierādīt, ka *Winfuran* niezi mazina efektīvāk nekā placebo. Lai gan papildu analīze liecināja par mērenu ieguvumu pacientu ar smagu urēmisku niezi apakšgrupā, *CHMP* uzskatīja, ka klīniskā nozīmība nav pierādīta. Tāpēc atsaukšanas brīdī *CHMP* uzskatīja, ka zāļu *Winfuran* ieguvumi nepārsniedz to radīto risku, un secināja, ka, pamatojoties uz uzņēmuma iesniegtajiem datiem, zāles nevar reģistrēt.

Kā uzņēmums pamatoja pieteikuma atsaukšanu?

Oficiālā vēstulē uzņēmums norādīja, ka lēmuma atsaukt pieteikumu pamatā ir *CHMP* atzinums, ka iesniegtie dati neļauj Komitejai secināt, ka zāļu ieguvumu un riska attiecība ir pozitīva.

Atsaukšanas vēstule ir pieejama šeit.

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

Uzņēmums informēja *CHMP*, ka pašlaik ar *Winfuran* nenotiek klīniskie pētījumi un netiek īstenotas līdzcietīgas zāļu lietošanas programmas.