

24 maart 2017
EMA/192276/2017
EMA/H/C/004193

Vragen en antwoorden

Intrekking van de aanvraag van een vergunning voor het in de handel brengen van Enpaxiq (pacritinib)

Op 20 februari 2017 heeft CTI BioPharma het Comité voor geneesmiddelen voor menselijk gebruik (CHMP) officieel op de hoogte gebracht van haar beslissing haar aanvraag van een vergunning voor het in de handel brengen van Enpaxiq in te trekken. Enpaxiq was bedoeld voor de behandeling van patiënten met een vergrote milt of andere symptomen van myelofibrose.

Wat is Enpaxiq?

Enpaxiq is een geneesmiddel dat de werkzame stof pacritinib bevat. Het zou verkrijgbaar worden in de vorm van capsules voor inname via de mond.

Voor welke behandeling was Enpaxiq bedoeld?

Enpaxiq was bedoeld voor de behandeling van patiënten met een vergrote milt of andere symptomen van myelofibrose – een aandoening waarbij zich littekenweefsel ophoopt in het beenmerg waar bloedcellen worden geproduceerd.

Enpaxiq werd op 25 augustus 2010 voor verschillende typen myelofibrose aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame ziekten). Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel vindt u [hier](#).

Hoe werkt Enpaxiq?

De werkzame stof in Enpaxiq, pacritinib, blokkeert de werking van JAK2 en FLT3, twee eiwitten die zijn betrokken bij de productie en groei van bloedcellen. Bij myelofibrose hebben patiënten te veel van deze eiwitten, wat zorgt voor de productie van onrijpe bloedcellen, waarvan sommige migreren naar organen zoals de milt, waardoor deze vergroot worden. Door deze eiwitten te blokkeren, wordt

verwacht dat Enpaxiq de productie van onrijpe bloedcellen zal vertragen en daardoor zal helpen de symptomen van de ziekte te verminderen.

Welke documentatie heeft de firma ingediend als ondersteuning van de aanvraag?

De firma overlegde gegevens van een hoofdstudie onder 327 patiënten met myelofibrose, waarin werd nagegaan bij hoeveel patiënten de miltomvang met ten minste 35% was verminderd na 24 weken behandeling. In de studie werd Enpaxiq vergeleken met de 'beste beschikbare therapie', wat behandelingen omvatte die niet inwerken op JAK-eiwitten, zoals hydroxyureum of ondersteunende zorg.

In welke beoordelingsfase werd de aanvraag ingetrokken?

De firma trok de aanvraag in nadat het CHMP de oorspronkelijke, door haar verstrekte documentatie had bestudeerd en een lijst met vragen had opgesteld. Op het ogenblik van de intrekking had de firma de vragen nog niet beantwoord.

Wat was de aanbeveling van het CHMP op dat moment?

Op het ogenblik van de intrekking van de aanvraag was het CHMP de voorlopige mening toegedaan dat Enpaxiq niet kon worden goedgekeurd voor myelofibrose.

Het Comité had een aantal bedenkingen: de vermindering van de miltomvang, de belangrijkste graadmeter voor de werkzaamheid in de studie, leek bij Enpaxiq lager te zijn dan bij een ander geneesmiddel uit dezelfde klasse, zonder verbetering in symptoomscores; de incidentie van lage concentraties bloedplaatjes (wat bloedingen kan veroorzaken) was hoger bij met Enpaxiq behandelde patiënten; en bij patiënten die Enpaxiq gebruikten, deed zich een hoger aantal sterfgevallen voor dan bij patiënten die de beste beschikbare therapie kregen, inclusief sterfgevallen als gevolg van bloedingen en effecten op het hart.

Verder merkte het CHMP op dat er meer informatie nodig was over de bij de productie van Enpaxiq gebruikte uitgangsmaterialen en over hoe het middel op bepaalde doeleiwitten in het lichaam inwerkt.

Gezien deze bedenkingen was het Comité van mening dat niet was aangetoond dat de voordelen van Enpaxiq groter zijn dan de risico's ervan.

Welke redenen gaf de firma voor het intrekken van de aanvraag?

De firma stelde in haar brief aan het Europees Geneesmiddelenbureau dat zij de aanvraag introk omdat er in de huidige aanvraagprocedure niet genoeg tijd was om nieuwe gegevens van een tweede hoofdstudie met Enpaxiq te verstrekken. De firma verklaarde dat zij de intentie heeft om de nieuwe gegevens van de studie in haar huidige dossier te integreren voordat zij het EMA benadert om een nieuwe aanvraag te bespreken. De intrekkingbrief is [hier](#) te vinden.

Welke gevolgen heeft de intrekking voor patiënten die deelnemen aan klinische proeven of het geneesmiddel met speciale toestemming krijgen toegediend?

De firma heeft het CHMP laten weten dat er geen gevolgen zijn voor patiënten die momenteel deelnemen aan klinische proeven met Enpaxiq of het geneesmiddel met speciale toestemming krijgen toegediend.

Indien u deelneemt aan een klinische proef of het geneesmiddel met speciale toestemming krijgt en meer informatie wenst over uw behandeling, neemt u dan contact op met uw behandelend arts.