



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

16 december 2022
EMA/913652/2022
EMA/H/C/005869

Intrekking van de aanvraag van een vergunning voor het in de handel brengen van Imbarkyd (bardoxolon)

Reata Ireland Limited heeft zijn aanvraag voor een vergunning voor het in de handel brengen van Imbarkyd voor de behandeling van chronische nierziekte veroorzaakt door het syndroom van Alport bij volwassenen en kinderen van 12 jaar en ouder ingetrokken.

Het bedrijf heeft de aanvraag op 9 november 2022 ingetrokken.

Wat is Imbarkyd en voor welke behandeling was het bedoeld?

Imbarkyd werd ontwikkeld als geneesmiddel voor de behandeling van chronische nierziekte veroorzaakt door het syndroom van Alport. Het was bedoeld voor volwassenen en kinderen van 12 jaar en ouder.

Imbarkyd bevat de werkzame stof bardoxolonmethyl en zou verkrijgbaar zijn in de vorm van capsules voor inname via de mond.

Imbarkyd werd op 25 mei 2018 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame ziekten) voor chronische nierziekte veroorzaakt door het syndroom van Alport. Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel vindt u op de website van het Geneesmiddelenbureau: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3182019.

Hoe werkt Imbarkyd?

Bardoxolonmethyl, de werkzame stof in Imbarkyd, activeert de transcriptiefactor Nrf2, een eiwit dat bepaalde genen reguleert die betrokken zijn bij ontsteking. Patiënten met chronische nierziekte die wordt veroorzaakt door het syndroom van Alport vertonen vaak een afwijkende Nrf2-activiteit. Daarom werd verwacht dat Imbarkyd de nierfunctie zou herstellen en de symptomen van de patiënten zou verlichten.

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



Welke documentatie heeft het bedrijf ingediend als ondersteuning van de aanvraag?

Het bedrijf heeft de resultaten ingediend van een hoofdstudie onder 157 patiënten met lichte tot matige chronische nierziekte veroorzaakt door het syndroom van Alport. In de studie werd gekeken naar de geschatte glomerulaire filtratiesnelheid, een maatstaf voor de werking van de nieren. De behandeling met Imbarkyd werd vergeleken met placebo (een schijnbehandeling).

In welke beoordelingsfase werd de aanvraag ingetrokken?

De aanvraag werd ingetrokken nadat het Europees Geneesmiddelenbureau de door het bedrijf verstrekte informatie had bestudeerd en vragen voor het bedrijf had opgesteld. Nadat het Geneesmiddelenbureau de antwoorden van het bedrijf op de laatste reeks vragen had beoordeeld, waren er toch nog onopgeloste punten.

Wat was de aanbeveling van het Geneesmiddelenbureau op dat moment?

Op basis van de bestudering van de gegevens en het antwoord van het bedrijf op de vragen van het Geneesmiddelenbureau, had het Geneesmiddelenbureau op het ogenblik van de intrekking enkele bedenkingen en was het de voorlopige mening toegedaan dat Imbarkyd voor de behandeling van chronische nierziekte veroorzaakt door het syndroom van Alport niet kon worden goedgekeurd.

Uit de door de aanvrager verstrekte gegevens bleek niet duidelijk hoe bardoxolon in het lichaam wordt afgebroken en of de eindproducten van het geneesmiddel van invloed kunnen zijn op de gezondheid van de patiënten. In de studie werd niet overtuigend aangetoond dat bardoxolon een aanhoudend gunstig effect heeft op de nierfunctie bij patiënten met het syndroom van Alport en er waren bedenkingen in verband met mogelijke negatieve gevolgen voor de nier- en hartfunctie.

Daarom was het Geneesmiddelenbureau op het ogenblik van de intrekking van mening dat de voordelen van Imbarkyd niet opwogen tegen de risico's ervan.

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

In de [brief](#) waarin het bedrijf het Geneesmiddelenbureau op de hoogte brengt van de intrekking van de aanvraag, stelde het bedrijf dat het de aanvraag introk omdat het Geneesmiddelenbureau van mening was dat op basis van de ingediende gegevens op dat moment geen positieve baten-risicoverhouding kon worden vastgesteld.

Heeft deze intrekking gevolgen voor patiënten die deelnemen aan klinische proeven?

Het bedrijf deelde het Geneesmiddelenbureau mee dat er geen gevolgen zijn voor patiënten die deelnemen aan klinische proeven met Imbarkyd.

Indien u deelneemt aan een klinische proef en meer informatie wenst over uw behandeling, neemt u dan contact op met uw onderzoeksarts.