

24 January 2014
EMA/33514/2014
EMA/H/C/002683

Vragen en antwoorden

Intrekking van de aanvraag van een vergunning voor het in de handel brengen van Winfuran (nalfurafine)

Op 17 januari 2014 heeft Toray International U.K. Limited 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 Winfuran in te trekken. Winfuran was bedoeld voor de behandeling van ernstige uremische pruritus (een vorm van jeuk) bij patiënten met terminale nierziekte die dialyse ondergaan.

Wat is Winfuran?

Winfuran is een geneesmiddel dat de werkzame stof nalfurafine bevat. Het had verkrijgbaar moeten worden als concentraat voor oplossing voor infusie in een ader.

Voor welke behandeling was Winfuran bedoeld?

Winfuran was bedoeld voor de behandeling van patiënten met ernstige uremische pruritus. Uremische pruritus is een persistente vorm van jeuk die optreedt bij sommige patiënten van wie de nieren niet goed werken. Winfuran was bedoeld om te worden gebruikt bij patiënten met terminale nierziekte (wanneer de nieren volledig zijn gestopt met werken) die worden behandeld met dialyse (een techniek om afvalproducten uit het bloed te verwijderen).

Winfuran werd op 11 september 2012 voor uremische pruritus aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame ziekten). Zie [hier](#) voor meer informatie.

Hoe werd verwacht dat Winfuran zou werken?

Hoewel de precieze oorzaak van uremische pruritus niet bekend is, wordt aangenomen dat de jeuk verband houdt met een overmatige activiteit van bepaalde receptoren (mu-opioïde receptoren) in de hersenen en huid. Winfuran activeert verschillende opioïde receptoren (kappareceptoren) die de

activiteit van de mu-opioïde receptoren blokkeren en daarom de jeuk bij patiënten met uremische pruritus verlichten.

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

De werking van Winfuran werd eerst in proefmodellen getest voordat deze bij mensen werd onderzocht.

De effecten van Winfuran werden vergeleken met placebo (een schijnbehandeling) in één hoofdonderzoek onder 339 patiënten met uremische pruritus die regelmatig dialyse ondergingen. De voornaamste graadmeter voor de werkzaamheid was de verandering in symptomen zoals jeukintensiteit en slaapstoornissen na vier weken behandeling op basis van een standaardscoringssysteem.

In welke beoordelingsfase werd de aanvraag ingetrokken?

De beoordeling was afgerond en het CHMP had een negatief advies uitgebracht.

Wat was de aanbeveling van het CHMP op dat moment?

Op basis van de bestudering van de informatie had het Comité op het ogenblik van de intrekking een negatief advies uitgebracht en aanbevolen een handelsvergunning voor Winfuran voor de behandeling van ernstige uremische pruritus te weigeren.

De belangrijkste bedenking van het CHMP was dat de voordelen van Winfuran bij de behandeling van uremische pruritus onvoldoende waren aangetoond. Het hoofdonderzoek toonde niet aan dat Winfuran werkzamer was dan placebo voor het verlichten van jeuk. Hoewel een aanvullende analyse bij een subpopulatie van patiënten met een ernstige vorm van uremische pruritus een bescheiden voordeel liet zien, was het CHMP van mening dat de klinische relevantie niet was aangetoond. Daarom was het CHMP op het ogenblik van de intrekking van mening dat de voordelen van Winfuran niet opwogen tegen de risico's ervan, en concludeerde het CHMP dat het geneesmiddel niet kon worden goedgekeurd op basis van de door de firma overgelegde informatie.

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

De firma stelde in een officiële brief dat haar beslissing om de aanvraag in te trekken was gebaseerd op het oordeel van het CHMP dat het Comité op basis van de overgelegde gegevens geen positieve baten-risicoverhouding kan vaststellen.

De intrekkingsbrief 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 klinische proeven met Winfuran lopen en dat Winfuran op dit moment niet met speciale toestemming wordt toegediend.