



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

18 września 2020 r.
EMA/529865/2020
EMA/H/C/5004

Wycofanie wniosku o dopuszczenie do obrotu dotyczącego produktu Upkanz (deferypron)

Firma Apotex B.V. wycofała wniosek o dopuszczenie do obrotu produktu Upkanz, który miał być stosowany w leczeniu neurozwyrodnienia związanego z kinazą pantotenianu.

Firma wycofała wniosek 10 sierpnia 2020 r.

Co to jest produkt Upkanz i w jakim celu miał być stosowany?

Produkt Upkanz opracowano jako lek stosowany w leczeniu neurozwyrodnienia związanego z kinazą pantotenianu (PKAN), będącego rzadką dziedziczną chorobą, która wywołuje pogłębiające się uszkodzenia mózgu i może prowadzić np. do dystonii (niekontrolowanych ruchów mięśni), parkinsonizmu i demencji. Pierwsze objawy choroby rozwijają się w dzieciństwie.

Upkanz zawiera substancję czynną deferypron i miał mieć postać płynu do stosowania doustnego.

W dniu 27 czerwca 2018 r. lek Upkanz uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach) w leczeniu neurozwyrodnienia związanego z kinazą pantotenianu. Więcej informacji na temat uznania za lek sierocy można znaleźć na stronie internetowej Agencji: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3182034.

Jak działa produkt Upkanz?

U pacjentów z PKAN dochodzi do gromadzenia się żelaza w pewnych obszarach mózgu, w tym tych kontrolujących ruch. Nadmiar żelaza prowadzi do powstania uszkodzeń. Deferypron, składnik czynny produktu Upkanz, jest chelatorem żelaza, co oznacza, że wiąże się z żelazem w organizmie. Zatrzymuje to wywoływanie uszkodzeń przez ten pierwiastek i pozwala usunąć go z organizmu, głównie z moczem. Oczekiwano, że deferypron będzie przenikał do mózgu i pomagał zapobiegać akumulacji żelaza w komórkach mózgu, a więc zmniejszy jego uszkodzenia.

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



Jaką dokumentację przedstawiła firma na poparcie wniosku?

Firma przedstawiła wyniki badania głównego z udziałem 89 pacjentów z PKAN w wieku od 4 lat. W badaniu porównywano zmiany stopnia nasilenia dystonii między pacjentami przyjmującymi produkt Upkanz a pacjentami otrzymującymi placebo (leczenie pozorowane).

Na jakim etapie znajdowała się ocena w momencie wycofania wniosku?

Wniosek wycofano po przeprowadzeniu przez Europejską Agencję Leków oceny informacji przedłożonych przez firmę i przygotowaniu listy pytań. Firma wycofała wniosek przed udzieleniem odpowiedzi na ostatnią serię pytań.

Jakie zalecenia wydała wówczas Agencja?

W momencie wycofania wniosku Agencja zgłosiła pewne zastrzeżenia na podstawie przeglądu danych i odpowiedzi firmy na pytania Agencji i wstępna opinia wskazywała, że produkt Upkanz nie może być zatwierdzony w leczeniu PKAN. W szczególności Agencja obawiała się, że w badaniu głównym nie wykazano wyraźnie skuteczności leku.

Dlatego też w momencie wycofania wniosku zdaniem Agencji, z uwagi na brak dowiedzionej skuteczności, korzyści ze stosowania produktu Upkanz nie przewyższały ryzyka.

Jakie przyczyny wycofania wniosku podała firma?

W swoim [piśmie](#) powiadamiającym Agencję o wycofaniu wniosku firma oświadczyła, że po przekazaniu praw do leku innej spółce ponownie oceniono program rozwoju i wprowadzania leku na rynek.

Jakie są skutki wycofania dla pacjentów uczestniczących w badaniach klinicznych lub programach leczenia ostatniej szansy?

Firma powiadomiła Agencję, że nie ma żadnych skutków dla pacjentów biorących udział w badaniach klinicznych lub programach leczenia ostatniej szansy z użyciem produktu Upkanz.