



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

24 marca 2017 r.  
EMA/192276/2017  
EMA/H/C/004193

## Pytania i odpowiedzi

---

# Wycofanie wniosku o dopuszczenie do obrotu dotyczącego produktu Enpaxiq (pakrytynib)

W dniu 20 lutego 2017 r. firma CTI BioPharma powiadomiła Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) o zamiarze wycofania wniosku o dopuszczenie do obrotu produktu Enpaxiq, który miał być stosowany w leczeniu pacjentów z powiększeniem śledziony lub innymi objawami włóknienia szpiku.

## Co to jest Enpaxiq?

Enpaxiq to lek zawierający substancję czynną pakrytynib. Lek miał być dostępny w postaci kapsułek przeznaczonych do przyjmowania doustnego.

## W jakim celu miał być stosowany produkt Enpaxiq?

Enpaxiq miał być stosowany w leczeniu pacjentów z powiększeniem śledziony lub innymi objawami włóknienia szpiku – schorzenia, w którym tkanka bliznowata rozrasta się w szpiku kostnym, gdzie produkowane są krwinki.

W dniu 25 sierpnia 2010 r. lek Enpaxiq uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach) w leczeniu różnych rodzajów włóknienia szpiku. Więcej informacji na temat uznania za lek sierocy można znaleźć [tutaj](#).

## Jak działa produkt Enpaxiq?

Substancja czynna leku Enpaxiq, pakrytynib, blokuje działanie JAK2 i FLT3, dwóch białek uczestniczących w produkcji i wzroście krwinek. We włóknieniu szpiku u pacjentów występuje zbyt duża ilość tych białek, powodujących wytwarzanie niedojrzałych krwinek, z których część migruje do narządów takich jak śledziona, co skutkuje ich powiększeniem. Przewiduje się, że w wyniku blokowania



tych białek Enpaxiq opóźni wytwarzanie niedojrzałych krwinek i w ten sposób pomoże w złagodzeniu objawów choroby.

## **Jaką dokumentację przedstawiła firma na poparcie wniosku?**

Firma przedstawiła dane z badania głównego u 327 pacjentów z włóknieniem szpiku, w którym analizowano liczbę pacjentów, u których nastąpiło zmniejszenie wielkości śledziony o co najmniej 35% po 24 tygodniach leczenia. W badaniu porównywano Enpaxiq z „najlepszą dostępną terapią”, która obejmowała metody leczenia nie działające na białka JAK, takie jak hydroksymocznik lub leczenie wspomagające.

## **Na jakim etapie znajdowała się ocena w momencie wycofania wniosku?**

Wniosek wycofano po przeprowadzeniu przez CHMP oceny dokumentacji wstępnej przedłożonej przez firmę i sformułowaniu listy pytań. Firma wycofała wniosek jeszcze przed udzieleniem odpowiedzi na pytania.

## **Jakie zalecenia wydał wówczas CHMP?**

W momencie wycofania wniosku wstępna opinia CHMP wskazywała, że produkt Enpaxiq nie może być zatwierdzony w leczeniu włóknienia szpiku.

Komitet miał wiele obaw: zmniejszenie wielkości śledziony, główne kryterium oceny skuteczności w badaniu, okazało się mniejsze w przypadku stosowania leku Enpaxiq w stosunku do innego leku z tej klasy, bez stwierdzonej poprawy w skali objawów; częstość występowania niskiego poziomu płytek krwi (mogącego powodować krwawienie) była wyższa u pacjentów leczonych produktem Enpaxiq; u pacjentów przyjmujących Enpaxiq wystąpiła też większa liczba zgonów niż u osób stosujących najlepszą dostępną terapię, w tym zgonów z powodu krwawienia i oddziaływania na serce.

Ponadto CHMP stwierdził, że potrzebnych jest więcej informacji na temat materiałów wyjściowych stosowanych do wytwarzania leku Enpaxiq i sposobu jego działania na pewne docelowe białka w organizmie.

Biorąc pod uwagę te obawy, Komitet był zdania, że nie wykazano, aby korzyści ze stosowania leku Enpaxiq przeważały nad ryzykiem.

## **Jakie przyczyny wycofania wniosku podała firma?**

W swoim piśmie powiadamiającym Agencję o wycofaniu wniosku firma oświadczyła, że wycofuje wniosek ze względu na zbyt krótki czas w bieżącej procedurze dotyczącej wniosku na dostarczenie nowych danych z drugiego badania głównego leku Enpaxiq. Firma stwierdziła, że zamierza uzupełnić nowe dane z badania w aktualnej dokumentacji przed zgłoszeniem do EMA celem omówienia nowego wniosku. Pismo powiadamiające jest dostępne [tutaj](#).

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

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

W przypadku uczestnictwa w badaniach klinicznych lub programie leczenia ostatniej szansy i potrzeby uzyskania dokładniejszych informacji o leczeniu należy skontaktować się z lekarzem prowadzącym.