



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

16 grudnia 2022 r.  
EMA/913652/2022  
EMA/H/C/005869

## Wycofanie wniosku o dopuszczenie do obrotu dotyczącego produktu Imbarkyd (bardoksolon)

Firma Reata Ireland Limited wycofała wniosek o dopuszczenie do obrotu dotyczący produktu Imbarkyd, który miał być stosowany w leczeniu przewlekłej choroby nerek wywołanej zespołem Alporta u osób dorosłych i dzieci od 12 lat.

Firma wycofała wniosek w dniu 9 listopada 2022 r.

### Co to jest Imbarkyd i w jakim celu miał być stosowany?

Lek Imbarkyd opracowano jako lek stosowany w przewlekłej chorobie nerek wywołanej zespołem Alporta. Lek był przeznaczony dla osób dorosłych i dzieci w wieku od 12 lat.

Lek Imbarkyd zawiera substancję czynną bardoksolon metylowy i miał być dostępny w postaci kapsułek do przyjmowania doustnego.

W dniu 25 maja 2018 r. lek Imbarkyd uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach) w leczeniu przewlekłej choroby nerek wywołanej zespołem Alporta. Więcej informacji na temat uznania za lek sierocy można znaleźć na stronie Agencji: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3182019](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3182019).

### Jak działa produkt Imbarkyd?

Bardoksolon metylowy, substancja czynna leku Imbarkyd, aktywuje czynnik transkrypcyjny Nrf2 – białko, które reguluje określone geny biorące udział w procesie zapalnym. Aktywność Nrf2 jest często zmieniona u pacjentów z przewlekłą chorobą nerek wywołaną zespołem Alporta. W związku z tym lek Imbarkyd miał przywrócić czynność nerek i łagodzić objawy choroby u pacjentów.

### Jaką dokumentację przedstawiła firma na poparcie wniosku?

Firma przedstawiła wyniki badania głównego z udziałem 157 pacjentów z przewlekłą chorobą nerek wywołaną zespołem Alporta, o nasileniu od łagodnego do umiarkowanego. W badaniu oceniano szacowany współczynnik filtracji kłębuszkowej, który jest miarą prawidłowej pracy nerek. Leczenie produktem Imbarkyd porównywano z placebo (leczenie pozorowane).

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



## **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 pytań dla firmy. Po tym, jak Agencja oceniła odpowiedzi firmy na ostatnią serię pytań, kilka kwestii pozostało nierozwiązanych.

## **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 Imbarkyd nie może być zatwierdzony w leczeniu przewlekłej choroby nerek wywołanej zespołem Alporta.

Na podstawie danych przedstawionych przez wnioskodawcę nie było jasne, w jaki sposób bardoksolon jest rozkładany w organizmie oraz czy produkty końcowe leku mogą mieć wpływ na zdrowie pacjentów. Badanie nie wykazało w sposób przekonujący, że bardoksolon ma utrzymujące się, korzystne działanie na czynność nerek u pacjentów z zespołem Alporta, a ponadto pojawiły się obawy dotyczące potencjalnego negatywnego wpływu na czynność nerek i serca.

Dlatego też w momencie wycofania wniosku zdaniem Agencji korzyści ze stosowania produktu Imbarkyd nie przewyższały ryzyka.

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

W swoim [piśmie](#) powiadamiającym Agencję o wycofaniu wniosku firma oświadczyła, że wycofała wniosek, ponieważ Agencja uznała, że przedstawione dane nie pozwalają obecnie na stwierdzenie pozytywnego stosunku korzyści do ryzyka.

## **Jakie są skutki wycofania dla pacjentów uczestniczących w badaniach klinicznych?**

Firma powiadomiła Agencję, że nie ma żadnych skutków dla pacjentów obecnie biorących udział w badaniach klinicznych z użyciem produktu Imbarkyd.

W przypadku uczestnictwa w badaniach klinicznych i potrzeby uzyskania dokładniejszych informacji o leczeniu, należy skontaktować się z lekarzem prowadzącym.