

24 de março de 2017
EMA/192276/2017
EMA/H/C/004193

Perguntas e respostas

Retirada do pedido de Autorização de Introdução no Mercado para Enpaxiq (pacritinib)

Em 20 de fevereiro de 2017, a CTI BioPharma notificou oficialmente o Comité dos Medicamentos para Uso Humano (CHMP) da sua decisão de retirar o pedido de autorização de introdução no mercado para o Enpaxiq, para o tratamento de doentes com o baço aumentado ou outros sintomas de mielofibrose.

O que é o Enpaxiq?

O Enpaxiq é um medicamento que contém a substância ativa pacritinib. O medicamento iria ser disponibilizado na forma de cápsulas a tomar por via oral.

Qual a utilização prevista para o Enpaxiq?

Previo-se que o Enpaxiq fosse utilizado para tratar doentes com o baço aumentado ou outros sintomas de mielofibrose — uma doença em que ocorre acumulação de tecido cicatricial na medula óssea onde são produzidas as células sanguíneas.

O Enpaxiq foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) em 25 de agosto de 2010 para diferentes tipos de mielofibrose. Pode obter informações adicionais sobre a designação de medicamento órfão [aqui](#).

Como funciona o Enpaxiq?

A substância ativa no Enpaxiq, o pacritinib, bloqueia a ação da JAK2 e da FLT3, duas proteínas envolvidas na produção e no crescimento de células sanguíneas. Na mielofibrose, os doentes têm demasiada quantidade destas proteínas, o que causa a produção de células sanguíneas imaturas, algumas das quais migram para órgãos como o baço, fazendo com que aumentem de tamanho. Ao

bloquear estas proteínas, prevê-se que o Enpaxiq abrande a produção de células sanguíneas imaturas, ajudando assim a reduzir os sintomas da doença.

Que documentação foi apresentada pela empresa a acompanhar o pedido?

A empresa apresentou dados de um estudo principal em 327 doentes com mielofibrose que examinou o número de doentes cujo tamanho do baço foi reduzido em pelo menos 35 % após 24 semanas de tratamento. O estudo comparou o Enpaxiq com a «melhor terapêutica disponível», que incluía tratamentos que não atuam nas proteínas JAK, como a hidroxiureia ou cuidados de suporte.

Qual o estado de adiantamento do processo de avaliação do pedido quando este foi retirado?

O pedido foi retirado depois de o CHMP ter avaliado a documentação inicial fornecida pela empresa e formulado uma lista de perguntas. A empresa não tinha ainda respondido às perguntas quando retirou o pedido.

Qual era a recomendação do CHMP no momento da retirada?

No momento da retirada do pedido, o CHMP era de parecer que o Enpaxiq não podia ser aprovado para a mielofibrose.

O Comité tinha um conjunto de questões: a redução do tamanho do baço, que consistia no principal parâmetro de eficácia do estudo, parecia ser inferior com o Enpaxiq do que com outro medicamento da sua classe, sem melhoria das pontuações dos sintomas; a incidência de baixos níveis de plaquetas no sangue (que podem causar hemorragias) era maior em doentes tratados com o Enpaxiq; e ocorreu um maior número de mortes em doentes que tomaram o Enpaxiq do que nos que receberam a melhor terapêutica disponível, incluindo mortes devido a hemorragias e efeitos no coração.

Além disso, o CHMP notou que era necessária mais informação sobre as substâncias de base utilizadas no fabrico do Enpaxiq e sobre o modo como atua em certas proteínas-alvo no organismo.

Tendo em consideração estas questões, o CHMP considerava não se ter demonstrado que os benefícios do Enpaxiq eram superiores aos seus riscos.

Quais as razões invocadas pela empresa para retirar o pedido?

Na carta que enviou à Agência, a empresa declarou que estava a retirar o pedido de autorização porque não havia tempo suficiente no presente procedimento de pedido de autorização para fornecer novos dados de um segundo estudo principal com o Enpaxiq. A empresa afirmou que pretende integrar os novos dados do estudo no seu presente dossiê antes de abordar a EMA para discutir um novo pedido. A carta de retirada está disponível [aqui](#).

Quais as consequências da retirada do pedido para os doentes incluídos em ensaios clínicos ou programas de uso compassivo em curso?

A empresa informou o CHMP de que não existem consequências para os doentes atualmente incluídos em ensaios clínicos ou programas de uso compassivo com o Enpaxiq.

Se estiver incluído num ensaio clínico ou num programa de uso compassivo e necessitar de informação adicional sobre o tratamento, contacte o médico que lhe receitou o medicamento.