



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

18 septembrie 2020  
EMA/529867/2020  
EMA/H/C/5004

## Retragerea cererii de autorizare de punere pe piață pentru Upkanz (deferipronă)

Apotex B.V. și-a retras cererea de autorizare de punere pe piață pentru Upkanz pentru tratamentul neurodegenerescentei asociate cu pantotenat-kinaza.

Compania și-a retras cererea la 10 august 2020.

### Ce este Upkanz și pentru ce ar fi trebuit să se utilizeze?

Upkanz a fost dezvoltat ca medicament pentru tratamentul neurodegenerescentei asociate cu pantotenat-kinaza (PKAN), o boală ereditară rară care provoacă leziuni din ce în ce mai extinse la nivelul creierului și poate duce la afecțiuni precum distonie (mișcare necontrolată a mușchilor), parkinsonism și demență. Primele semne ale bolii apar în copilărie.

Upkanz conține substanța activă deferipronă și urma să fie disponibil sub formă de lichid cu administrare orală.

Upkanz a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament folosit în bolile rare) la data de 27 iunie 2018 pentru tratamentul neurodegenerescentei cu acumulare de fier în creier. Informații suplimentare privind desemnarea ca medicament orfan sunt disponibile pe site-ul agenției: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3182034](https://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3182034).

### Cum acționează Upkanz?

Pacienții cu PKAN prezintă acumulări de fier în unele părți ale creierului, inclusiv în cele implicate în controlul mișcărilor. Această cantitate excesivă de fier duce la apariția de leziuni. Deferiprona, substanța activă din Upkanz, este un chelator al fierului, adică se leagă de fierul din organism, împiedicându-l să provoace leziuni și facilitând eliminarea lui din organism, în principal prin urină. Se preconiza că deferiprona va ajunge la nivelul creierului și va ajuta la prevenirea acumulării fierului în celulele creierului, reducând astfel leziunile cerebrale.

---

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

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

An agency of the European Union



## **Ce documentație a prezentat compania în sprijinul cererii sale?**

Compania a prezentat rezultatele unui studiu principal care a cuprins 89 de pacienți cu PKAN, cu vârste începând de la 4 ani. Studiul a comparat modificarea severității distoniei la pacienții care au primit Upkanz cu cei care au primit placebo (un preparat inactiv).

## **În ce stadiu se afla evaluarea în momentul retragerii cererii?**

Cererea a fost retrasă după ce Agenția Europeană pentru Medicamente evaluase informațiile prezentate de companie și formulase întrebări pentru aceasta. În momentul retragerii cererii, compania nu răspunsese încă la ultima rundă de întrebări.

## **Care a fost recomandarea agenției în momentul respectiv?**

Pe baza analizării datelor și a răspunsului companiei la întrebările agenției, în momentul retragerii cererii, agenția avea unele motive de îngrijorare și a dat un aviz provizoriu potrivit căruia Upkanz nu putea fi autorizat pentru tratamentul PKAN. Agenția era îngrijorată mai ales de faptul că studiul principal nu demonstrase în mod clar eficacitatea medicamentului.

Prin urmare, la momentul retragerii cererii, în opinia agenției, din cauza lipsei unei eficacități dovedite, beneficiile Upkanz nu depășeau riscurile asociate.

## **Care au fost motivele invocate de companie pentru retragerea cererii?**

În [scrisoarea](#) prin care înștiințează agenția cu privire la retragerea cererii, compania a declarat că, în urma transferării medicamentului la altă companie, dezvoltarea și punerea pe piață a acestuia sunt în curs de reevaluare.

## **Retragerea acestei cereri afectează pacienții din studii clinice sau din programe de uz compasional?**

Compania a informat agenția că nu există consecințe pentru pacienții implicați în studii clinice sau în programe de uz compasional cu Upkanz.