



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

24 martie 2017
EMA/192276/2017
EMA/H/C/004193

Întrebări și răspunsuri

Retragerea cererii de autorizare de punere pe piață pentru Enpaxiq (pacritinib)

La 20 februarie 2017, CTI BioPharma a informat oficial Comitetul pentru medicamente de uz uman (CHMP) că dorește să-și retragă cererea de autorizare de punere pe piață pentru Enpaxiq, pentru tratarea pacienților cu splină mărită sau cu alte simptome ale mielofibrozei.

Ce este Enpaxiq?

Enpaxiq este un medicament care conține substanța activă pacritinib. Acesta urma să fie disponibil sub formă de capsule cu administrare pe cale orală.

Pentru ce ar fi trebuit să se utilizeze Enpaxiq?

Enpaxiq ar fi trebuit să se utilizeze pentru tratarea pacienților cu splină mărită sau cu alte simptome ale mielofibrozei – o tulburare în care se acumulează țesut fibros în măduva osoasă, în care se produc celulele sanguine.

Enpaxiq a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament folosit în bolile rare) la data de 25 august 2010, pentru diferite tipuri de mielofibroză. Informații suplimentare privind desemnările ca medicament orfan sunt disponibile [aici](#).

Cum acționează Enpaxiq?

Substanța activă din Enpaxiq, pacritinibul, blochează acțiunea JAK2 și a FLT3, două proteine implicate în producerea și dezvoltarea celulelor sanguine. În mielofibroză, pacienții au o cantitate prea mare din aceste proteine, ceea ce determină producerea de celule sanguine imature, iar unele dintre acestea migrează către organe precum splina, cauzând mărirea acestora. Prin blocarea acestor proteine, se



preconizează că Enpaxiq încetinește producerea de celule sanguine imature, contribuind astfel la reducerea simptomelor bolii.

Ce documentație a prezentat compania în sprijinul cererii sale?

Compania a prezentat date obținute dintr-un studiu principal pe 327 de pacienți cu mielofibroză, care a urmărit numărul de pacienți la care mărimea splinei s-a redus cu cel puțin 35 % după 24 de săptămâni de tratament. Studiul a comparat Enpaxiq cu „cea mai bună terapie disponibilă”, în care s-au utilizat tratamente care nu acționează asupra proteinelor JAK, cum ar fi hidroxiureea sau tratamentul de susținere.

În ce stadiu se afla evaluarea în momentul retragerii cererii?

Cererea a fost retrasă după ce CHMP evaluase documentația inițială prezentată de companie și formulase o listă de întrebări. În momentul retragerii cererii, compania nu răspunsese încă la întrebări.

Care a fost recomandarea CHMP în momentul respectiv?

În momentul retragerii cererii, CHMP a dat un aviz provizoriu potrivit căruia Enpaxiq nu putea fi aprobat pentru mielofibroză.

Comitetul avea mai multe motive de îngrijorare: scăderea mărimii splinei, principala măsură a eficacității în studiu, a părut a fi mai mică în asociere cu Enpaxiq decât în asociere cu un alt medicament din clasa acestuia, fără nicio îmbunătățire a scorurilor simptomelor; incidența nivelurilor scăzute de plachete sanguine (care pot cauza sângerări) a fost mai mare la pacienții tratați cu Enpaxiq; și numărul de decese înregistrate la pacienții cărora li s-a administrat Enpaxiq a fost mai mare decât la cei cărora li s-a administrat cea mai bună terapie disponibilă, incluzând decese cauzate de hemoragii și de efectele asupra inimii.

În plus, CHMP a remarcat că erau necesare mai multe informații despre materiile prime utilizate la fabricarea Enpaxiq și despre modul în care acesta acționează asupra anumitor proteine țintă din organism.

Date fiind aceste motive de îngrijorare, în opinia comitetului nu s-a demonstrat că beneficiile Enpaxiq depășeau riscurile asociate.

Care au fost motivele invocate de companie pentru retragerea cererii?

În scrisoarea adresată agenției, compania a declarat că își retrage cererea deoarece în cadrul procedurii curente de soluționare a cererii nu există suficient timp pentru a se furniza date noi dintr-un al doilea studiu principal cu Enpaxiq. Compania a declarat că intenționează să includă noile date din studiu în dosarul curent înainte de a aborda EMA pentru a discuta cu privire la o nouă cerere. Scrisoarea de înștiințare cu privire la retragere a cererii este disponibilă [aici](#).

Care sunt consecințele retragerii cererii pentru pacienții din studii clinice sau din programe de uz compasional?

Compania a informat CHMP că nu există consecințe pentru pacienții aflați în prezent în studii clinice sau programe de uz compasional cu Enpaxiq.

Dacă participați la un studiu clinic sau program de uz compasional și aveți nevoie de informații suplimentare despre tratamentul dumneavoastră, adresați-vă medicului care vă administrează acest medicament.