



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

18. septembra 2020
EMA/529868/2020
EMA/H/C/5004

Stiahnutie žiadosti o povolenie na uvedenie na trh pre liek Upkanz (deferiprón)

Spoločnosť Apotex B.V. stiahla svoju žiadosť o povolenie na uvedenie na trh pre liek Upkanz na liečbu neurodegenerácie asociovanej s pantotenátkínázou (PKAN).

Spoločnosť stiahla svoju žiadosť 10. augusta 2020.

Čo je liek Upkanz a aké bolo jeho predpokladané použitie?

Liek Upkanz bol vyvinutý ako liek na liečbu neurodegenerácie asociovanej s pantotenátkínázou (PKAN), zriedkavej dedičnej choroby, ktorá spôsobuje zvýšené poškodenie mozgu a môže viesť k ochoreniam, ako je dystónia (nekontrolované pohyby svalov), Parkinsonova choroba a demencia. Prvé príznaky choroby sa objavujú v detstve.

Liek Upkanz obsahuje liečivo deferiprón a mal byť dostupný vo forme kvapaliny na perorálne užívanie.

Liek Upkanz bol 27. júna 2018 označený za liek na ojedinelé ochorenia používaný na liečbu neurodegenerácie s akumuláciou železa v mozgu. Ďalšie informácie o označení lieku za liek na ojedinelé ochorenia môžete nájsť na webovom sídle agentúry:

ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3182034.

Akým spôsobom liek Upkanz účinkuje?

U pacientov s PKAN sa železo akumuluje v niektorých častiach mozgu, vrátane častí zapojených do kontroly pohybu. Nadmerné množstvo železa vedie k poškodeniu. Deferiprón, liečivo lieku Upkanz, je chelátor železa, čo znamená, že sa v tele naviaže na železo. Zabraňuje tomu, aby železo spôsobilo poškodenie, a umožňuje jeho vylúčenie z tela, a to najmä močom. Očakávalo sa, že deferiprón prenikne do mozgu a pomôže zabrániť akumulácii železa v mozgových bunkách, a tým zníži poškodenie mozgu.

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

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

An agency of the European Union



Akou dokumentáciou podložila spoločnosť svoju žiadosť?

Spoločnosť predložila výsledky hlavnej štúdie zahŕňajúcej 89 pacientov s PKAN vo veku od 4 rokov. Štúdia porovnávala zmeny v závažnosti dystónie u pacientov, ktorým bol podávaný liek Upkanz, s pacientmi, ktorým bolo podávané placebo (zdanlivý liek).

V akej fáze hodnotenia bola žiadosť v čase stiahnutia?

Žiadosť bola stiahnutá po tom, ako Európska agentúra pre lieky vyhodnotila informácie, ktoré spoločnosť predložila, a sformulovala zoznam otázok pre spoločnosť. Spoločnosť v čase stiahnutia žiadosti ešte neodpovedala na poslednú sériu otázok.

Aké bolo v tom čase odporúčanie agentúry?

Na základe preskúmania údajov a odpovedí spoločnosti na otázky agentúry mala agentúra v čase stiahnutia žiadosti určité výhrady a dospela k predbežnému stanovisku, že liek Upkanz nemôže byť povolený na liečbu PKAN. Agentúra mala najmä výhrady, že hlavná štúdia jasne nepreukázala účinnosť lieku.

Agentúra preto v čase stiahnutia žiadosti zastávala názor, že vzhľadom na nepreukázanú účinnosť prínosy lieku Upkanz neprevyšujú jeho riziká.

Aké dôvody na stiahnutie žiadosti uviedla spoločnosť?

Vo svojom [liste](#) oznamujúcom agentúre stiahnutie žiadosti spoločnosť uviedla, že bol prehodnotený následný prevod lieku do inej spoločnosti, jeho vývoj a uvedenie na trh.

Má stiahnutie žiadosti nejaké dôsledky pre pacientov, ktorí sa zúčastňujú na klinických skúšaniach alebo na programoch na použitie lieku v naliehavých prípadoch?

Spoločnosť informovala agentúru, že pre pacientov, ktorí sa zúčastňujú na klinických skúšaniach alebo na programoch na použitie lieku Upkanz v naliehavých prípadoch nevyplývajú žiadne dôsledky.