

24. marec 2017
EMA/192276/2017
EMA/H/C/004193

Otázky a odpovede

Stiahnutie žiadosti o povolenie na uvedenie na trh pre liek Enpaxiq (pakritinib)

Dňa 20. februára 2017 spoločnosť CTI BioPharma oficiálne oznámila Výboru pre lieky na humánne použitie (CHMP) rozhodnutie stiahnuť svoju žiadosť o povolenie na uvedenie lieku Enpaxiq na trh, ktorý je určený na liečbu pacientov so zväčšenou slezinou alebo s inými symptómami myelofibrózy.

Čo je Enpaxiq?

Enpaxiq je liek, ktorý obsahuje účinnú látku pakritinib. Liek mal byť dostupný vo forme kapsúl na užívanie ústami.

Aké bolo predpokladané použitie lieku Enpaxiq?

Liek Enpaxiq sa mal používať na liečbu pacientov so zväčšenou slezinou alebo s inými symptómami myelofibrózy, čo je porucha, pri ktorej sa v kostnej dreni, kde sa vytvárajú krvné bunky, hromadí zjazvené tkanivo.

Liek Enpaxiq bol 25. augusta 2010 označený ako liek na zriedkavé choroby (liek, ktorý sa používa pri zriedkavých chorobách) na liečbu rôznych typov myelofibrózy. Viac informácií o označovaní liekov ako lieky na zriedkavé choroby sa nachádza [tu](#).

Akým spôsobom liek Enpaxiq účinkuje?

Účinná látka lieku Enpaxiq, pakritinib, blokuje pôsobenie dvoch proteínov, JAK2 a FLT3, ktoré sa podieľajú na produkcii a raste krvných buniek. Pri myelofibróze majú pacienti príliš veľa týchto proteínov, čo spôsobuje vytváranie nezrelých krvných buniek, pričom niektoré z nich migrujú do takých orgánov, ako je slezina, a spôsobujú ich zväčšenie. Zablokovaním týchto proteínov mal liek Enpaxiq spomaliť vytváranie nezrelých krvných buniek, a tým zmierniť symptómy tohto ochorenia.

Akou dokumentáciou podložila spoločnosť svoju žiadosť?

Spoločnosť predložila údaje z hlavnej štúdie zahŕňajúcej 327 pacientov s myelofibrózou, v ktorej sa skúmal počet pacientov, u ktorých sa po 24 týždňoch liečby zmenšila slezina aspoň o 35 %. V štúdii sa porovnával liek Enpaxiq s najlepšou dostupnou terapiou zahŕňajúcou liečby, ktoré nepôsobia na proteíny JAK, ako je hydroxymočovina alebo podporná starostlivosť.

V akej fáze hodnotenia bola žiadosť v čase stiahnutia?

Žiadosť bola stiahnutá potom, ako výbor CHMP vyhodnotil pôvodnú dokumentáciu, ktorú spoločnosť predložila, a vypracoval zoznam otázok. Spoločnosť v čase stiahnutia žiadosti ešte neodpovedala na otázky.

Aké bolo v tom čase odporúčanie výboru CHMP?

V čase stiahnutia žiadosti dospel výbor CHMP k predbežnému stanovisku, že liek Enpaxiq nemôže byť povolený na liečbu myelofibrózy.

Výbor mal niekoľko výhrad. Zdalo sa, že zmenšenie sleziny, čo je hlavným meradlom účinnosti v štúdii, je pri použití lieku Enpaxiq menej výrazné než pri použití iného lieku z tej istej triedy a nedosiahlo sa zlepšenie v skóre symptómov. Výskyt nízkej hladiny krvných doštičiek (čo môže spôsobiť krvácanie) bol u pacientov liečených liekom Enpaxiq vyšší a u pacientov užívajúcich liek Enpaxiq sa zaznamenal vyšší počet úmrtí vrátane úmrtí spôsobených krvácaním a účinkami na srdce než v prípade pacientov, ktorí dostávali najlepšiu dostupnú terapiu.

Okrem toho výbor CHMP konštatoval, že je potrebných viac informácií o východiskových látkach použitých pri výrobe lieku Enpaxiq a o pôsobení lieku na určité cieľové proteíny v tele.

Vzhľadom na tieto výhrady dospel výbor k stanovisku, že sa nepreukázalo, že prínosy lieku Enpaxiq prevyšujú jeho riziká.

Aké dôvody na stiahnutie žiadosti uviedla spoločnosť?

Vo svojom liste oznamujúcom agentúre stiahnutie žiadosti spoločnosť uviedla, že žiadosť sťahuje preto, lebo nemala v súčasnom postupe týkajúcom sa žiadosti dosť času na predloženie nových údajov z druhej hlavnej štúdie s liekom Enpaxiq. Spoločnosť uviedla, že plánuje zahrnúť tieto nové údaje zo štúdie do svojej súčasnej dokumentácie, kým osloví agentúru EMA, aby prediskutovali novú žiadosť. List spoločnosti oznamujúci agentúre stiahnutie žiadosti sa nachádza [tu](#).

Aké sú dôsledky stiahnutia žiadosti pre pacientov, ktorí sa zúčastňujú na klinických skúškaniach alebo na programoch na použitie v naliehavých prípadoch?

Spoločnosť informovala výbor CHMP, že pre pacientov, ktorí sa v súčasnosti zúčastňujú na klinických skúškaniach alebo na programoch na použitie lieku Enpaxiq v naliehavých prípadoch, nevyplývajú žiadne dôsledky.

Ak sa zúčastňujete na klinickom skúšaní alebo na programe na použitie lieku v naliehavých prípadoch a potrebujete viac informácií o svojej liečbe, obráťte sa na svojho ošetrojúceho lekára.