



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

24. januára 2014
EMA/33514/2014
EMA/H/C/002683

Otázky a odpovede

Stiahnutie žiadosti o povolenie na uvedenie na trh pre liek Winfuran (nalfurafín)

Dňa 17. januára 2014 spoločnosť Toray International U.K. Limited oficiálne oznámila Výboru pre lieky na humánne použitie (CHMP) rozhodnutie stiahnuť svoju žiadosť o povolenie na uvedenie na trh pre liek Winfuran, ktorý sa mal používať na liečbu závažného uremického pruritu (formy svrbenia) u pacientov s ochorením obličiek v poslednom štádiu, ktorí sú na dialýze.

Čo je liek Winfuran?

Winfuran je liek, ktorý obsahuje účinnú látku nalfurafín. Liek mal byť dostupný vo forme koncentráту na infúzny roztok podávaný do žily.

Aké bolo predpokladané použitie lieku Winfuran?

Liek Winfuran sa mal používať na liečbu pacientov so závažným uremickým pruritom. Uremický pruritus je perzistentná forma svrbenia, ktorá sa vyskytuje u niektorých pacientov, ktorých obličky nepracujú správne. Liek Winfuran sa mal používať u pacientov s renálnym ochorením v poslednom štádiu (keď obličky úplne prestali fungovať), ktorí sú na dialýze (metóda na odstránenie odpadových produktov z krvi).

Liek Winfuran bol 11. septembra 2002 označený ako liek na zriedkavé choroby (liek, ktorý sa používa pri zriedkavých chorobách) na liečbu uremického pruritu. Ďalšie informácie sú uvedené [tu](#).

Akým spôsobom by mal liek Winfuran účinkovať?

Aj keď presná príčina uremického pruritu nie je známa, predpokladá sa, že svrbenie súvisí s nadmernou aktivitou určitých receptorov v mozgu a koži, ktoré sa nazývajú mu-opioidné receptory. Liek Winfuran aktivuje rôzne opioidné receptory s názvom kappa receptory, ktoré blokujú aktivitu mu-opioidných receptorov, a tým zmierňuje svrbenie u pacientov s uremickým pruritom.



Akou dokumentáciou podložila spoločnosť svoju žiadosť?

Účinok lieku Winfuran sa najprv skúmal na pokusných modeloch, a potom na ľuďoch.

Účinok lieku Winfuran sa porovnával s placebo (zdanlivým liekom) v jednej hlavnej štúdii, do ktorej sa zapojilo 339 pacientov s uremickým pruritom, ktorí boli na pravidelnej dialýze. Hlavným meradlom účinnosti bola zmena príznakov, ako je napríklad intenzita svrbenia a porucha spánku po 4 týždňoch liečby na základe štandardného bodovacieho systému.

V akej fáze hodnotenia bola žiadosť v čase stiahnutia?

Hodnotenie bolo ukončené a výbor CHMP vydal negatívne stanovisko.

Aké bolo v tom čase odporúčanie výboru CHMP?

Na základe preskúmania údajov vydal výbor CHMP v čase stiahnutia žiadosti negatívne stanovisko a odporučil zamietnuť povolenie na uvedenie na trh pre liek Winfuran na liečbu závažného uremického pruritu.

Hlavná výhrada výboru CHMP bola tá, že prínos lieku Winfuran pri liečbe uremického pruritu sa dostatočne nepreukázal. V hlavnej štúdii sa nepreukázalo, že liek Winfuran je pri zmiernení svrbenia účinnejší ako placebo. Aj keď ďalšia analýza preukázala mierny prínos v podskupine pacientov so závažnou formou uremického pruritu, výbor CHMP usúdil, že klinický význam sa nepreukázal. Výbor CHMP preto v čase stiahnutia žiadosti zastával názor, že prínos lieku Winfuran neprevyšuje jeho riziká a dospel k záveru, že liek nemôže byť povolený na základe údajov, ktoré predložila spoločnosť.

Aké dôvody na stiahnutie žiadosti uviedla spoločnosť?

Spoločnosť vo svojom oficiálnom liste uviedla, že rozhodnutie spoločnosti stiahnuť žiadosť je založené na názore výboru CHMP, podľa ktorého predložené údaje neumožňujú výboru vyvodiť záver o pozitívnom pomere prínosu a rizika.

List spoločnosti oznamujúci agentúre stiahnutie žiadosti sa nachádza tu.

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

Spoločnosť informovala výbor CHMP, že s liekom Winfuran sa nevykonávajú žiadne klinické skúšania ani programy na použitie v naliehavých prípadoch.