



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

18. september 2020
EMA/529869/2020
EMA/H/C/5004

Umik vloge za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Upkanz (deferipron)

Podjetje Apotex B.V. je umaknilo vlogo za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Upkanz, namenjenim zdravljenju nevrodegeneracije, povezane s pantotenat kinazo.

Podjetje je vlogo umaknilo 10. avgusta 2020.

Kaj je zdravilo Upkanz in za kaj naj bi se uporabljalo?

Zdravilo Upkanz je bilo razvito kot zdravilo za zdravljenje nevrodegeneracije, povezane s pantotenat kinazo, tj. redke dedne bolezni, ki povzroča čedalje večje poškodbe možganov in lahko privede do stanj, kot so distonija (nenadzorovani gibi mišic), parkinsonizem in demenca. Prvi znaki bolezni se pojavijo v otroštvu.

Zdravilo Upkanz vsebuje učinkovino deferipron in naj bi bilo na voljo v obliki tekočine, ki se jemlje peroralno.

Zdravilo Upkanz je bilo 27. junija 2018 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni) za zdravljenje nevrodegeneracije s kopičenjem železa v možganih. Več informacij o določitvi zdravila sirote je voljo na spletišču agencije: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3182034.

Kako zdravilo Upkanz deluje?

Pri bolnikih z nevrodegeneracijo, povezano s pantotenat kinazo, se v določenih delih možganov kopiči železo, zlasti v tistih, ki sodelujejo pri nadzoru gibanja. Čezmerna količina železa povzroča poškodbe. Deferipron, učinkovina zdravila Upkanz, je kelator železa, kar pomeni, da se veže na železo v telesu. S tem železu prepreči, da bi povzročal poškodbe, in omogoči njegovo odstranjevanje iz telesa, večinoma z urinom. Deferipron naj bi vstopil v možgane in preprečil kopičenje železa v možganskih celicah ter tako zmanjšal možganske poškodbe.

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



Katero dokumentacijo je podjetje predložilo v podporo svoji vlogi?

Podjetje je predstavilo rezultate glavne študije, v katero je bilo vključenih 89 bolnikov, starih 4 leta in več, z nevrodegeneracijo, povezano s pantotenat kinazo. V študiji so primerjali spremembe resnosti distonije pri bolnikih, ki so prejeli zdravilo Upkanz, in bolnikih, ki so prejeli placebo (zdravilo brez učinkovine).

Kako daleč je bil postopek ocenjevanja vloge ob njenem umiku?

Vlogo so umaknili po tem, ko je Evropska agencija za zdravila že ocenila dokumentacijo, ki jo je predložilo podjetje, in oblikovala seznam vprašanj. Podjetje ob umiku vloge še ni odgovorilo na zadnji sklop vprašanj.

Kakšno je bilo takrat priporočilo agencije?

Agencija je na podlagi pregleda podatkov in odgovorov podjetja na vprašanja, ki jih je zastavila, ob umiku vloge izrazila določene zadržke in začasno menila, da zdravila Upkanz ni mogoče odobriti za zdravljenje nevrodegeneracije, povezane s pantotenat kinazo. Predvsem je izrazila zadržke, da glavna študija ni jasno dokazala učinkovitosti zdravila.

Zato je ob umiku vloge menila, da koristi zdravila Upkanz zaradi pomanjkanja dokazov o učinkovitosti ne odtehtajo z njim povezanih tveganj.

Kakšni so bili razlogi podjetja za umik vloge?

Podjetje je v [dopisu](#), s katerim je obvestilo agencijo o umiku vloge, navedlo, da se razvoj in trženje zdravila po njegovem prenosu na drugo podjetje ponovno ocenjujeta.

Kakšne so posledice umika vloge za bolnike, ki sodelujejo v kliničnih preskušanjih ali programih sočutne uporabe zdravila?

Podjetje je agencijo obvestilo, da zavrnitev nima posledic za bolnike, vključene v klinična preskušanja ali programe sočutne uporabe zdravila Upkanz.