

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

Vprašanja in odgovori

Umik vloge za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Enpaxiq (pakritinib)

Družba CTI BioPharma je 20. februarja 2017 uradno obvestila Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP), da želi umakniti vlogo za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Enpaxiq, namenjenim zdravljenju bolnikov s povečano vranico ali drugimi simptomi mielofibroze.

Kaj je zdravilo Enpaxiq?

Enpaxiq je zdravilo, ki vsebuje zdravilno učinkovino pakritinib. Na voljo naj bi bilo v obliki kapsul, ki se jemljejo peroralno.

Za kaj naj bi se zdravilo Enpaxiq uporabljalo?

Zdravilo Enpaxiq naj bi se uporabljalo za zdravljenje bolnikov s povečano vranico ali drugimi simptomi mielofibroze, tj. motnje, pri kateri se v kostnem mozgu, kjer nastajajo krvne celice, kopiči brazgotinsko tkivo.

Zdravilo Enpaxiq je bilo 25. avgusta 2010 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni) za zdravljenje različnih vrst mielofibroze. Več informacij o zdravilih sirotah je na voljo [tukaj](#).

Kako zdravilo Enpaxiq deluje?

Aktivna učinkovina zdravila Enpaxiq, pakritinib, zavira delovanje beljakovin JAK2 in FLT3, ki sta vključeni v tvorbo in rast krvnih celic. Pri mielofibrozi imajo bolniki teh beljakovin preveč, kar povzroči tvorbo nezrelih krvnih celic, od katerih nekatere potujejo v organe, kot je vranica, ki se zato povečajo. Z zaviranjem teh beljakovin naj bi zdravilo Enpaxiq upočasnilo tvorbo nezrelih krvnih celic in tako zmanjšalo simptome bolezni.

Katero dokumentacijo je družba predložila v podporo svoji vlogi?

Družba je predložila podatke iz glavne študije, v kateri je sodelovalo 327 bolnikov z mielofibrozo, v njej pa so ugotavljali število bolnikov, pri katerih se je vranica po 24 tednih zdravljenja zmanjšala za vsaj 35 %. V študiji so primerjali zdravilo Enpaxiq z „najboljšim razpoložljivim zdravljenjem“, ki je vključevalo zdravila, ki ne delujejo na beljakovine JAK, kot sta hidroksisečnina ali podporno zdravljenje.

Kako daleč je bil postopek ocenjevanja vloge ob njenem umiku?

Vlogo so umaknili po tem, ko je odbor CHMP že ocenil začetno dokumentacijo, ki jo je predložila družba, in oblikoval seznam vprašanj. Družba ob umiku vloge še ni odgovorila na zastavljena vprašanja.

Kakšno je bilo takrat priporočilo odbora CHMP?

Odbor CHMP je ob umiku vloge začasno menil, da zdravila Enpaxiq ni mogoče odobriti za zdravljenje mielofibroze.

Odbor je imel številne pomisleke: zmanjšanje velikosti vranice, glavno merilo učinkovitosti v študiji je bilo pri zdravilu Enpaxiq manjše kot pri drugem zdravilu istega razreda, pri čemer se ocene simptomov niso izboljšale; pojavnost nizkih ravni trombocitov (kar lahko povzroči krvavitve) je bila pri bolnikih, zdravljenih z zdravilom Enpaxiq, večja; in večje število smrti pri bolnikih, zdravljenih z zdravilom Enpaxiq, kot pri bolnikih, ki so prejeli najboljše razpoložljivo zdravljenje, vključno s smrtmi zaradi krvavitve in učinkov na srce.

Nadalje je odbor CHMP poudaril, da je potrebnih več informacij o začetnih materialih, uporabljenih za izdelavo zdravila Enpaxiq, in o načinu njegovega delovanja na določene tarčne beljakovine v telesu.

Glede na te pomisleke je Odbor menil, da koristi zdravila Enpaxiq ne odtehtajo z njim povezanih tveganj.

Kakšni so bili razlogi družbe za umik vloge?

Družba je v dopisu, s katerim je agencijo obvestila o umiku vloge, navedla, da vlogo umika, ker v okviru trenutnega postopka za odobritev vloge za dovoljenje za promet z zdravilom ni dovolj časa, da bi lahko predložili nove podatke druge glavne študije, opravljene z zdravilom Enpaxiq. Družba je navedla, da bo nove podatke iz študije vključila v trenutno dokumentacijo, preden se bo z agencijo EMA dogovarjala o novi vlogi. Dopis o umiku je na voljo [tukaj](#).

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

Družba je odbor CHMP obvestila, da umik nima nobenih posledic za bolnike, ki trenutno sodelujejo v kliničnih preskušanjih ali programih sočutne uporabe zdravila Enpaxiq.

Če ste vključeni v klinično preskušanje ali program sočutne uporabe in potrebujete več informacij o zdravljenju, se obrnite na zdravnika, ki vam je predpisal zdravljenje.