



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

1. februar 2019
EMA/38410/2019
EMA/H/C/004487

Umik vloge za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Vynpenta (avakopan)

Podjetje ChemoCentryx je 23. januarja 2019 uradno obvestilo Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP), da želi umakniti vlogo za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Vynpenta (avakopan), namenjenim zdravljenju bolezni krvnih žil granulomatoze s poliangiitidom in mikroskopskim poliangiitidom.

Kaj je zdravilo Vynpenta?

Vynpenta je zdravilo, ki vsebuje učinkovino avakopan. Na voljo naj bi bilo v obliki kapsul, ki se jemljejo peroralno.

Za kaj naj bi se zdravilo Vynpenta uporabljalo?

Zdravilo Vynpenta naj bi se uporabljalo za nadzor vnetja krvnih žil pri odraslih z granulomatozo s poliangiitidom (GPA) ali mikroskopskim poliangiitidom (MPA). Zdravilo naj bi se uporabljalo v kombinaciji s ciklofosfamidom ali rituksimabom.

Zdravilo Vynpenta je bilo dne 19. novembra 2014 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni) za zdravljenje teh bolezni. Več informacij o zdravilih sirotah je na voljo tukaj: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141373 (granulomatoza s poliangiitidom), ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141372 (mikroskopski poliangiitis).

Kako zdravilo Vynpenta deluje?

Zdravilo Vynpenta zavira receptor (prijemališče) za beljakovino v krvi, imenovano komplement 5a, ki tvori del imunskega sistema (naravne obrambe telesa).

Ko se C5a veže na svoj receptor, privlači in aktivira imunske celice, imenovane nevtrofilci, ki naj bi prispevali k vnetju drobnih krvnih žil pri granulomatozi s poliangiitidom in mikroskopskim poliangiitidom. Z zaviranjem receptorja za C5a naj bi zdravilo Vynpenta zmanjšalo vnetje krvnih žil in s tem izboljšalo simptome bolezni.



Katero dokumentacijo je podjetje predložilo v podporo svoji vlogi?

Podjetje je v podporo svoji pogojni vlogi za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom je predložilo rezultate dveh študij, v katerih je sodelovalo skupaj 109 bolnikov. V eni od študij so zdravilo Vynpenta primerjali s standardnim zdravljenjem, vključno s prednizonom (kortikosteroidom), v drugi pa so kombinacijo zdravila Vynpenta in prednizona primerjali s prednizonom. V obeh študijah je bilo glavno merilo učinkovitosti delež bolnikov, pri katerih so se simptomi vnetja krvnih žil v 12 tednih zdravljenja zmanjšali vsaj za 50 %, izmerjeno z uporabo Birminghamске lestvice za ocenjevanje aktivnosti vaskulitisa (BVAS).

Kako daleč je bil postopek ocenjevanja vloge ob njenem umiku?

Vlogo so umaknili po tem, ko je odbor CHMP že ocenil dokumentacijo, ki jo je predložilo podjetje, in oblikoval seznam vprašanj. Podjetje ob umiku vloge še ni odgovorilo na zadnji sklop vprašanj.

Kakšno je bilo takrat priporočilo odbora CHMP?

Odbor CHMP je na podlagi pregleda podatkov in odgovorov podjetja na sezname vprašanj, ki jih je zastavil, ob umiku vloge izrazil določene zadržke in je začasno menil, da zdravila Vynpenta ni mogoče odobriti za zdravljenje granulomatoze s poliangiitisom in mikroskopskega poliangiitisa.

Ugotovil je pomanjkljivosti pri zasnovi študij in izrazil zaskrbljenost, da razpoložljivi podatki ne zadostujejo za dokazovanje učinkovitosti zdravila Vynpenta pri zdravljenju teh stanj. Čeprav se je v študijah pokazalo delno izboljšanje na lestvici BVAS pri več bolnikih, zdravljenih z zdravilom Vynpenta, kot pri standardnem zdravljenju, se to ni štelo za popolnoma ustrezno, saj pri bolnikih, pri katerih so se simptomi izboljšali le deloma, obstaja visoko tveganje za ponovitev bolezni. Zdravilo ni učinkovalo bolje od standardnih zdravil še z enega vidika: deleža bolnikov brez simptomov.

Kar zadeva varnost, je odbor ugotovil, da so podatki o neželenih učinkih zdravila Vynpenta zelo omejeni. Poleg tega je izrazil pomisleke o izbiri vhodnih snovi, ki se uporabljajo za izdelavo zdravila.

Zato je odbor CHMP ob umiku vloge menil, da podjetje ni predložilo zadostnih podatkov v podporo vlogi za zdravilo Vynpenta.

Kakšni so bili razlogi podjetja za umik vloge?

Podjetje je v dopisu, s katerim je agencijo obvestilo o umiku vloge, navedlo, da se je odločilo svoja prizadevanja usmeriti na prihodnjo predložitev popolne vloge za pridobitev dovoljenja za promet, saj naj bi bili kmalu na voljo nadaljnji podatki iz potekajoče študije pri več kot 300 bolnikih, ki so zdravilo prejeli 52 tednov.

Dopis o umiku vloge je na voljo [tukaj](#).

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

Podjetje je obvestilo odbor CHMP, da umik nima posledic za bolnike, ki so vključeni v potekajoča klinična preskušanja ali programe sočutne uporabe z zdravilom Vynpenta.

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.