



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

16. december 2022  
EMA/913652/2022  
EMA/H/C/005869

## Umik vloge za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Imbarkyd (bardoksolon)

Podjetje Reata Ireland Limited je umaknilo vlogo za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Imbarkyd za zdravljenje kronične ledvične bolezni, ki jo povzroča Alportov sindrom, pri odraslih in otrocih, starejših od 12 let.

Podjetje je vlogo umaknilo 9. novembra 2022.

### **Kaj je zdravilo Imbarkyd in za kaj naj bi se uporabljalo?**

Zdravilo Imbarkyd je bilo razvito za zdravljenje kronične bolezni ledvic, ki jo povzroča Alportov sindrom. Namenjeno naj bi bilo odraslim in otrokom, starejšim od 12 let.

Zdravilo Imbarkyd vsebuje učinkovino bardoksolon metil in naj bi bilo na voljo v obliki kapsul, ki se jemljejo peroralno.

Zdravilo Imbarkyd je bilo 25. maja 2018 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni) za zdravljenje kronične ledvične bolezni, ki jo povzroča Alportov sindrom. Več informacij o določitvi zdravila sirote je voljo na spletišču agencije: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3182019](https://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3182019).

### **Kako zdravilo Imbarkyd deluje?**

Bardoksolon metil, učinkovina v zdravilu Imbarkyd, aktivira faktor za transkripcijo Nrf2, tj. beljakovino, ki uravnava določene gene, povezane z vnetjem. Pri bolnikih s kronično ledvično boleznijo, ki jo povzroča Alportov sindrom, je aktivnost faktorja Nrf2 pogosto spremenjena. Zdravilo Imbarkyd naj bi torej ponovno vzpostavilo delovanje ledvic in ublažilo simptome bolezni.

### **Katero dokumentacijo je podjetje predložilo v podporo svoji vlogi?**

Podjetje je predstavilo rezultate glavne študije, v katero je bilo vključenih 157 bolnikov z blago do zmerno kronično ledvično boleznijo, ki jo povzroča Alportov sindrom. V študiji so proučevali ocenjeno stopnjo glomerulne filtracije, tj. merilo učinkovitosti delovanja ledvic. Zdravljenje z zdravilom Imbarkyd so primerjali s placebom (zdravilom brez učinkovine).

---

**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](https://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](https://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



## **Kako daleč je bil postopek ocenjevanja vloge ob njenem umiku?**

Vlogo so umaknili po tem, ko je Evropska agencija za zdravila že ocenila začetno dokumentacijo, ki jo je predložilo podjetje, in oblikovala seznam vprašanj. Potem ko je agencija ocenila odgovore podjetja na zadnji sklop vprašanj, so nekatera vprašanja še vedno ostala nerešena.

## **Kakšno je bilo takrat priporočilo agencije?**

Agencija je na podlagi pregleda podatkov in odgovorov podjetja na zastavljena vprašanja ob umiku vloge izrazila določene zadržke in začasno menila, da zdravila Imbarkyd ni mogoče odobriti za zdravljenje kronične ledvične bolezni, ki jo povzroča Alportov sindrom.

Iz podatkov, ki jih je predložil predlagatelj, ni bilo jasno, kako se bardoksolon presnavlja v telesu in ali lahko presnovni produkti zdravila vplivajo na zdravje bolnikov. Študija pri bolnikih z Alportovim sindromom ni prepričljivo dokazala trajnega koristnega učinka bardoksolona na delovanje ledvic, pojavili pa so se tudi pomisleki o morebitnih negativnih učinkih na delovanje ledvic in srca.

Zato je agencija ob umiku vloge menila, da koristi zdravila Imbarkyd ne odtehtajo z njim povezanih tveganj.

## **Kakšni so bili razlogi podjetja za umik vloge?**

Podjetje je v [dopisu](#), s katerim je agencijo obvestilo o umiku vloge, navedlo, da se je za umik vloge odločilo, ker meni, da na podlagi predloženih podatkov trenutno ni mogoče sklepati o pozitivnem razmerju med tveganji in koristmi.

## **Kakšne so posledice umika vloge za bolnike, ki sodelujejo v kliničnih preskušanjih?**

Podjetje je agencijo obvestilo, da umik vloge nima nobenih posledic za bolnike, ki trenutno sodelujejo v kliničnih preskušanjih z zdravilom Imbarkyd.

Če ste vključeni v klinično preskušanje in potrebujete več informacij o zdravljenju, se obrnite na zdravnika, ki vodi klinično preskušanje.