



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

18 september 2020
EMA/529870/2020
EMA/H/C/5004

Återkallande av ansökan om godkännande för försäljning av Upkanz (deferipron)

Apotex B.V. återkallade sin ansökan om godkännande för försäljning av Upkanz för behandling av pantotenatkinas-associerad neurodegeneration.

Företaget återkallade sin ansökan den 10 augusti 2020.

Vad är Upkanz och vad skulle det användas för?

Upkanz togs fram som ett läkemedel för behandling av pantotenatkinas-associerad neurodegeneration (PKAN), en sällsynt ärftlig sjukdom som orsakar progredierande hjärnskador och kan leda till tillstånd såsom dystoni (okontrollerade muskelrörelser), parkinsonism och demens. De första tecknen på sjukdomen uppträder under barndomen.

Upkanz innehåller den aktiva substansen deferipron och skulle finnas som en vätska som skulle tas via munnen.

Upkanz klassificerades den 27 juni 2018 som ett särlekemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) avsett för behandling av neurodegeneration med ansamling av järn i hjärnan. Mer information om klassificeringen som särlekemedel finns på EMA:s webbplats:

ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3182034.

Hur verkar Upkanz?

Hos patienter med PKAN ansamlas järn i delar av hjärnan, däribland de delar som styr kroppens rörelser. Denna alltför stora järnmängd leder till skador. Deferipron, som är den aktiva substansen i Upkanz, bildar kelatkomplex med järn, vilket innebär att det binder till järn i kroppen. Detta förhindrar att järnet orsakar skador och gör att det kan utsöndras från kroppen, främst genom urinen. Det förväntades att deferipron skulle tränga in i hjärnan och bidra till att förhindra ansamlingen av järn i hjärncellerna och därmed minska hjärnskadorna.

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



Vad har företaget lämnat in som stöd för sin ansökan?

Företaget lade fram resultaten från en huvudstudie som omfattade 89 patienter från 4 års ålder med PKAN. I studien jämfördes förändringar av dystonins allvarlighetsgrad hos patienter som fick Upkanz med patienter som fick placebo (en överksam behandling).

Hur långt hade utvärderingen kommit när ansökan drogs tillbaka?

Ansökan drogs tillbaka efter att Europeiska läkemedelsmyndigheten hade utvärderat informationen från företaget och förberett frågor till företaget. Vid tidpunkten för återkallandet hade företaget ännu inte besvarat den sista omgången frågor.

Vad rekommenderade myndigheten vid den tidpunkten?

Efter genomgång av de inlämnade uppgifterna och företagets svar på myndighetens frågor hyste myndigheten vid tidpunkten för återkallandet vissa betänkligheter och ansåg preliminärt att Upkanz inte skulle ha kunnat godkännas för behandling av PKAN. I synnerhet hyste myndigheten betänkligheter mot att huvudstudien inte tydligt hade visat att läkemedlet var effektivt.

Vid tidpunkten för återkallandet ansåg därför myndigheten att nyttan med Upkanz inte övervägde riskerna, eftersom effekten inte hade påvisats.

Vilka skäl angav företaget till att dra tillbaka sin ansökan?

I [skrivelsen](#) till myndigheten om att ansökan återkallas uppgav företaget att utveckling och försäljning av läkemedlet höll på att omprövas, efter att det överförts till ett annat företag.

Påverkar detta återkallande patienter som deltar i kliniska prövningar eller s.k. compassionate use-program?

Företaget informerade myndigheten om att återkallandet inte får några följder för patienter som deltar i kliniska prövningar eller i s.k. compassionate use-program med Upkanz.