

24 mars 2017
EMA/192276/2017
EMA/H/C/004193

Frågor och svar

Återkallande av ansökan om godkännande för försäljning av Enpaxiq (pacritinib)

Den 20 februari 2017 underrättade CTI Biopharma officiellt Europeiska läkemedelsmyndighetens kommitté för humanläkemedel (CHMP) om att de önskar återkalla sin ansökan om godkännande för försäljning för Enpaxiq som var avsett för behandling av patienter med förstörd mjälte eller andra symtom på myelofibros.

Vad är Enpaxiq?

Enpaxiq är ett läkemedel som innehåller den aktiva substansen pacritinib. Det skulle finnas som kapslar avsedda att tas genom munnen.

Vad skulle Enpaxiq användas för?

Enpaxiq skulle användas för att behandla patienter med en förstörd mjälte eller andra symtom på myelofibros – en sjukdom då det ansamlas ärrvävnad i benmärgen där blodkroppar bildas.

Enpaxiq klassificerades den 25 augusti 2010 som sär läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) avsett att användas vid olika typer av myelofibros. Mer information om dess klassificering som sär läkemedel finns [här](#).

Hur verkar Enpaxiq?

Den aktiva substansen i Enpaxiq, pacritinib, blockerar verkan av JAK2 och FLT3, två proteiner som medverkar till bildandet och tillväxten av blodkroppar. Vid myelofibros har patienter för mycket av dessa proteiner, vilket gör att det produceras omogna blodkroppar, varav en del migrerar till organ, t.ex. mjälten, och gör att de blir förstörda. Genom att blockera dessa proteiner väntas Enpaxiq

bromsa bildandet av omogna blodkroppar och därigenom bidra till att minska symtomen på sjukdomen.

Vad har företaget lämnat in som stöd för sin ansökan?

Företaget presenterade data från en huvudstudie på 327 patienter med myelofibros där man undersökt hur många patienter som hade fått en reducerad mjältstorlek med minst 35 procent efter 24 veckors behandling. I studien jämfördes Enpaxiq med "bästa tillgängliga terapi", vilket inkluderade behandlingar som inte verkar på JAK-proteiner, t.ex. hydroxiurea eller stödjande vård.

Hur långt hade utvärderingen kommit när ansökan drogs tillbaka?

Ansökan drogs tillbaka efter att CHMP hade utvärderat den ursprungliga dokumentation som företaget lämnat in och sammanställt en frågelista. Vid tidpunkten för återkallandet hade företaget ännu inte besvarat frågorna.

Vad rekommenderade CHMP vid den tidpunkten?

Vid tidpunkten för återkallandet ansåg CHMP preliminärt att Enpaxiq inte skulle ha kunnat godkännas för myelofibros.

Kommittén hade en rad betänkligheter: reduktionen av mjältstorleken, huvudeffektmåttet i studien verkade vara lägre med Enpaxiq än med ett annat läkemedel i samma klass, utan förbättrade symtompång; incidensen av lågt antal blodplättar (vilket kan orsaka blödning) var högre hos patienter som behandlades med Enpaxiq, och ett större antal dödsfall skedde bland patienter som tog Enpaxiq än bland dem som fick bästa tillgängliga terapi, inklusive dödsfall på grund av blödning och effekter på hjärtat.

Vidare noterade CHMP att det behövdes mer information om startmaterial som används vid tillverkningen av Enpaxiq och hur det verkar på vissa målproteiner i kroppen.

Med tanke på dessa betänkligheter ansåg kommittén att nyttan med Enpaxiq inte har visat sig vara större än riskerna.

Vilka skäl angav företaget till att dra tillbaka sin ansökan?

Företaget angav i sin skrivelse till myndigheten att man drog tillbaka sin ansökan eftersom det inte fanns tillräckligt med tid i det nuvarande ansökningsförfarandet för att tillhandahålla nya data från en andra huvudstudie med Enpaxiq. Företaget sade att man har för avsikt att integrera de nya uppgifterna från studien i sitt nuvarande underlag innan man vänder sig till EMA för att diskutera en ny ansökan. Företagets skrivelse till myndigheten om återkallandet av ansökan finns [här](#).

Vilka följder får återkallandet för patienter som deltar i kliniska prövningar eller s.k. compassionate use-program?

Företaget har informerat CHMP om att beslutet inte får några följder för patienter som för närvarande deltar i kliniska prövningar eller s.k. compassionate use-program med Enpaxiq.

Om du deltar i en klinisk prövning eller ett s.k. compassionate use-program och behöver mer information om din behandling kan du kontakta den läkare som ger dig läkemedlet.