



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

24 март 2017 г.
EMA/192276/2017
EMA/H/C/004193

Въпроси и отговори

Оттегляне на заявлението за разрешаване за употреба на Епрахиќ (пакритиниб)

На 20 февруари 2017 г. СТИ BioPharma официално уведомява Комитета по лекарствените продукти за хуманна употреба (CHMP), че желае да оттегли заявлението си за разрешаване за употреба на Епрахиќ, показан за лечение на пациенти с уголемен далак или други симптоми на миелофиброза.

Какво представлява Епрахиќ?

Епрахиќ е лекарство, което съдържа активното вещество пакритиниб (*pacritinib*). Предлага се под формата на капсули, които се приемат през устата.

За какво се очаква да се използва Епрахиќ?

Епрахиќ се очаква да се използва за лечение на пациенти с уголемен далак или други симптоми на миелофиброза — заболяване, при което в костния мозък, където се произвеждат кръвни клетки, се натрупва цикатрициална тъкан.

Епрахиќ е определен като лекарство сирак (лекарство за използване при редки заболявания) на 25 август 2010 г. за различни видове миелофиброза. Допълнителна информация за определянето му като лекарството сирак може да се намери [тук](#).

Как действа Епрахиќ?

Активното вещество в Епрахиќ, пакритиниб, блокира действието на JAK2 и FLT3 — два протеина, участващи в производството и растежа на кръвните клетки. При миелофиброза пациентите имат прекалено много от тези протеини, което води до производството на незрели кръвни клетки, някои от които мигрират в органи, например в далака, и причиняват увеличаването им. Чрез



блокирането на тези протеини се очаква Епрахиќ да забави производството на незрели кръвни клетки и по този начин да намали симптомите на заболяването.

Какво е представила фирмата в подкрепа на своето заявление?

Фирмата представи данни от едно основно проучване при 327 пациенти с миелофиброза, в които се разглежда броят на пациентите, чийто размер на далака намалява с поне 35% след 24-седмично лечение. В проучването Епрахиќ се сравнява с „най-добрата налична терапия“, която включва лечения, които не въздействат върху JAK протеините, например хидроксиурея или поддържащи грижи.

На какъв етап от оценката е заявлението към момента на оттеглянето?

Заявлението е оттеглено, след като СНМР е оценил първоначалната документация, представена от фирмата, и е изготвил списък с въпроси. Към момента на оттеглянето фирмата все още не е отговорила на въпросите.

Какви са препоръките на СНМР към момента?

Към момента на оттеглянето на заявлението СНМР изразява предварително становище, че Епрахиќ не може да бъде одобрен за миелофиброза.

Комитетът изразява редица забележки: намаляването на размера на далака — основната мярка за ефективност в проучването, е по-слабо при Епрахиќ, отколкото при други лекарства от неговия клас, без подобрене на оценката на симптомите; случаите на ниски нива на тромбоцити в кръвта (което може да причини кървене) са по-високи при пациенти, лекувани с Епрахиќ; и при пациенти, приемащи Епрахиќ, има по-голям брой смъртни случаи, отколкото при тези, получаващи най-добрата налична терапия, включително смъртни случаи поради кървене и ефекти върху сърцето.

Освен това СНМР отбелязва, че е необходима допълнителна информация за суровините, използвани при производството на Епрахиќ, както и за начина на действие на лекарството на определени целеви протеини в организма.

Предвид тези забележки становището на Комитета е, че ползите на Епрахиќ не превишават рисковете.

Какви причини посочва фирмата за оттегляне на заявлението?

В писмото си до Агенцията фирмата посочва, че оттегля заявлението, защото не разполага с достатъчно време в рамките на настоящата процедура, за да предостави нови данни от второ основно проучване с Епрахиќ. Фирмата посочва, че възнамерява да включи новите данни от проучването в настоящото си досие, преди да се обърне към ЕМА за обсъждане на ново заявление. Писмото за оттеглянето може да се намери [ТУК](#).

Какви са последствията от оттеглянето за пациентите, участващи в клинични изпитвания или програми с милосърдна цел?

Фирмата уведомява СНМР, че няма последствия за пациентите, включени понастоящем в клинични изпитвания или програми с милосърдна цел с Епрахиќ.

Ако участвате в клинично изпитване или в програма с милосърдна цел и се нуждаете от повече информация за Вашето лечение, свържете се с лекаря, който Ви го е предписал.