



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

18. října 2019  
EMA/559309/2019  
EMA/H/C/004468

## Zamítnutí registrace přípravku Vanflyta (quizartinib)

Evropská agentura pro léčivé přípravky doporučila zamítnout registraci přípravku Vanflyta určeného k léčbě dospělých s akutní myeloidní leukémií (nádorovým onemocněním bílých krvinek).

Agentura vydala své stanovisko dne 17. října 2019. Společnost Daiichi Sankyo Europe GmbH, která o registraci požádala, může do 15 dnů od obdržení stanoviska požádat o jeho přezkoumání.

### Co je přípravek Vanflyta a k čemu měl být používán?

Přípravek Vanflyta byl vyvinut jako protinádorový přípravek k léčbě typu akutní myeloidní leukémie zvané „pozitivní na FLT3-ITD“ (kdy nádorové buňky vykazují určitou změnu v genu pro protein zvaný FLT3). Přípravek Vanflyta měl být používán u dospělých pacientů, jejichž onemocnění se vrátilo nebo nereagovalo na předchozí léčbu, a k pokračování v léčbě poté, co pacient podstoupil transplantaci hematopoetických kmenových buněk (transplantaci buněk, které se mohou vyvinout v jiné typy krevních buněk).

Přípravek Vanflyta obsahuje léčivou látku quizartinib a měl být dostupný ve formě tablet.

Přípravek Vanflyta, který se používá k léčbě akutní myeloidní leukémie, byl dne 23. března 2009 označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete na internetových stránkách agentury na adrese: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu309622](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu309622).

### Jak přípravek Vanflyta působí?

Léčivá látka v přípravku Vanflyta, quizartinib, je inhibitor receptorů tyrozinkinázy. Působí tak, že blokuje protein FLT3, který se podílí na růstu buněk a jejich bujení. Předpokládá se, že quizartinib blokováním FLT3 zastavuje množení nádorových buněk a zpomaluje tak postup onemocnění.

### Jakou dokumentaci předložila společnost na podporu své žádosti?

Společnost předložila výsledky studie u 367 pacientů s akutní myeloidní leukémií pozitivní na FLT3-ITD, jejichž onemocnění nereagovalo na léčbu nebo se po léčbě vrátilo. Přípravek Vanflyta byl porovnáván s dalšími protinádorovými přípravky, přičemž hlavním měřítkem účinnosti bylo celkové přežití pacientů (jak dlouho žili) poté, co jim byl podáván přípravek Vanflyta nebo srovnávací léčivé přípravky.

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

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

An agency of the European Union



## **Jaké byly hlavní důvody zamítnutí registrace?**

Ačkoli z výsledků hlavní studie vyplývalo mírné prodloužení doby celkového přežití pacientů, kterým byl podáván přípravek Vanflyta, studie vykazovala významná omezení, v důsledku čehož nemohla být účinnost přípravku Vanflyta dostatečně prokázána.

Agentura tudíž dospěla k názoru, že přínosy přípravku Vanflyta nepřevyšují jeho rizika, a doporučila registraci zamítnout.

## **Má zamítnutí registrace dopad na pacienty zařazené do klinických studií nebo do programů, v nichž je přípravek Vanflyta podáván v rámci léčby z humánních důvodů (na základě principu tzv. compassionate use)?**

Společnost informovala agenturu, že zamítnutí registrace nemá žádné důsledky pro pacienty, kteří jsou zařazení do klinických studií nebo do programů, v nichž je přípravek Vanflyta podáván v rámci léčby z humánních důvodů.

Pokud jste zařazení do klinické studie nebo do programu, v němž je přípravek Vanflyta podáván v rámci léčby z humánních důvodů, a potřebujete získat více informací o své léčbě, obraťte se na svého lékaře v rámci klinické studie.