



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

24. märts 2017  
EMA/192276/2017  
EMA/H/C/004193

## Teabedokument

---

# Müügiloa taotluse tagasivõtmise teave: Enpaxiq (pakritiniib)

CTI BioPharma teatas 20. veebruaril 2017 ametlikult inimravimite komiteele oma soovist võtta tagasi ravimi Enpaxiq müügiloa taotlus. Ravim oli näidustatud suurenenud põrna või muude müelofibroosi sümptomitega patsientide raviks.

## Mis on Enpaxiq?

Enpaxiq on ravim, mis sisaldab toimeainena pakritiniibi. Seda kavatseti turustada suukaudsete kapslitena.

## Milleks kavatseti Enpaxiqi kasutada?

Enpaxiqi kavatseti kasutada suurenenud põrna või muude müelofibroosi (haigus, mille korral tekib sidekoestumine luuüdis, kus moodustuvad vererakud) sümptomitega patsientide raviks.

Enpaxiq nimetati 25. augustil 2010 müelofibroosi harvikravimiks (ravim, mida kasutatakse harvaesinevate haiguste korral). Lisateave harvikravimiks nimetamise kohta on [siin](#).

## Kuidas Enpaxiq toimib?

Enpaxiqi toimeaine pakritiniib blokeerib kahe vererakkude moodustumises ja arengus osaleva proteiini, JAK2 ja FLT3 toime. Müelofibroosiga patsientidel on neid proteiine liiga palju ning seetõttu toodab nende organism ebaküpseid vererakke, millest osa koguneb elunditesse, näiteks põrna, põhjustades elundi suurenemist. Nende proteiinide toime blokeerimisega peaks Enpaxiq aeglustama ebaküpsete vererakkude tootmist ja seeläbi vähendama haiguse sümptomeid.



## **Mis dokumendid esitas ettevõtte oma taotluse toetuseks?**

Ettevõtte esitas andmed põhiuuringust, milles osales 327 müelofibroosiga patsienti ja milles uuriti, kui mitmel patsiendil oli põrna suurus pärast 24 ravinädalat vähenenud vähemalt 35% võrra. Uuringus võrreldi Enpaxiqi parima saadaoleva raviga, mis hõlmas JAK-proteiinidele mittetoimivaid ravimeid, näiteks hüdroksüureat või toetavat ravi.

## **Mis järgus oli müügiloa taotluse hindamine, kui see tagasi võeti?**

Taotlus võeti tagasi pärast seda, kui inimravimite komitee oli hinnanud ettevõtte esialgselt esitatud dokumente ja koostanud ettevõttele vastamiseks küsimused. Ettevõtte ei olnud taotluse tagasivõtmise ajaks neile küsimustele veel vastanud.

## **Mis oli sel ajal inimravimite komitee soovitus?**

Taotluse tagasivõtmise ajal oli inimravimite komitee esialgsel arvamusel, et Enpaxiqi kasutamist müelofibroosiga patsientide raviks ei ole võimalik heaks kiita.

Komitee väljendas mitmeid kahtlusi: põrna suuruse vähenemine, mis oli uuringu efektiivsuse põhinäitaja, osutus Enpaxiqiga väiksemaks kui teise samasse ravimiklassi kuuluva ravimiga ning sümptomite skoorid ei paranenud; Enpaxiqiga ravitud patsientidel esines sagedamini vereliistakute arvu vähenemist (mis võib põhjustada verejooksu); Enpaxiqiga ravitud patsientide seas esines rohkem surmajuhtumeid kui parimat saadaolevat ravi saanud patsientide seas, sealhulgas verejooksust ja südameprobleemidest põhjustatud surmajuhtumeid.

Peale selle märkis inimravimite komitee, et vaja on lisateavet Enpaxiqi tootmisel kasutatavate lähtematerjalide ning organismi teatavatele sihtproteiinidele avalduva toime kohta.

Seetõttu oli inimravimite komitee arvamusel, et Enpaxiqi kasulikkus ei ole suurem kui sellega kaasnevad riskid.

## **Mis põhjustel võttis ettevõtte taotluse tagasi?**

Ettevõtte märkis oma kirjas raviametile, et võtab taotluse tagasi, sest asjaomasest müügiloa taotluse menetluses ei olnud piisavalt aega teisest Enpaxiqi põhiuuringust pärit uute andmete esitamiseks. Ettevõtte mainis, et kavatses lisada uued uuringuandmed pooleliolevasse toimikusse, enne kui pöördub EMA poole uue taotluse arutamiseks. Taotluse tagasivõtmise kiri on [siin](#).

## **Kuidas mõjutab tagasivõtmine praegu kliinilistes uuringutes või eriloaga kasutamise programmides osalevaid patsiente?**

Ettevõtte teatas inimravimite komiteele, et müügiloa andmisest keeldumine ei mõjuta Enpaxiqi kliinilistes uuringutes või eriloaga kasutamise programmides osalevaid patsiente.

Kui osalete ravimi kliinilises uuringus või eriloaga kasutamise programmis ja vajate oma ravi kohta lisateavet, pöörduge palun arsti poole, kes teile ravi määras.