



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

18. rujna 2020.
EMA/529858/2020
EMA/H/C/5004

Povlačenje zahtjeva za izdavanje odobrenja za stavljanje u promet lijeka Upkanz (deferipron)

Tvrtka Apotex B.V. povukla je svoj zahtjev za izdavanje odobrenja za stavljanje u promet lijeka Upkanz za liječenje neurodegeneracije povezane s pantotenat kinazom.

Tvrtka je povukla zahtjev 10. kolovoza 2020.

Što je Upkanz i za što se trebao koristiti?

Upkanz je razvijen kao lijek za liječenje neurodegeneracije povezane s pantotenat kinazom (PKAN), rijetke nasljedne bolesti koja uzrokuje sve veća oštećenja u mozgu i može dovesti do stanja kao što su distonija (nekontrolirani mišićni pokreti), parkinsonizam i demencija. Prvi znakovi bolesti razvijaju se u djetinjstvu.

Upkanz sadrži djelatnu tvar deferipron i trebao je biti dostupan u obliku tekućine koja se uzima kroz usta.

Upkanz je uvršten na popis lijekova za rijetke bolesti (lijek koji se koristi u liječenju rijetkih bolesti) dana 27. lipnja 2018. za liječenje neurodegeneracije s taloženjem željeza u mozgu. Dodatne informacije o uvrštenju na popis lijekova za rijetke bolesti dostupne su na internetskim stranicama Agencije: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3182034.

Kako djeluje Upkanz?

U bolesnika s neurodegeneracijom povezanom s pantotenat kinazom dolazi do nakupljanja željeza u dijelovima mozga, uključujući one dijelove koji sudjeluju u kontroliranju pokreta. Ta prekomjerna količina željeza dovodi do oštećenja. Deferipron, djelatna tvar u lijeku Upkanz, kelator je željeza, što znači da se veže na željezo u tijelu. To sprječava da željezo prouzrokuje oštećenje i omogućuje da se ono ukloni iz tijela, uglavnom mokraćom. Očekivalo se da će deferipron ući u mozak i pomoći u sprječavanju nakupljanja željeza u stanicama mozga te tako smanjiti oštećenje mozga.

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



Što je tvrtka dostavila u prilog svom zahtjevu?

Tvrtka je predstavila rezultate glavnog ispitivanja kojim je bilo obuhvaćeno 89 bolesnika starijih od 4 godine s neurodegeneracijom povezanom s pantotemat kinazom. U ispitivanju su uspoređene promjene u težini distonije u bolesnika koji su primali Upkanz naspram onih koji su primali placebo (prividno liječenje).

U kojoj je fazi bila procjena zahtjeva kada je povučen?

Zahtjev je povučen nakon što je Europska agencija za lijekove procijenila informacije koje je tvrtka dostavila i sastavila popis pitanja za tvrtku. U trenutku povlačenja tvrtka još nije bila dostavila svoje odgovore na posljednji niz pitanja.

Koja je bila preporuka Agencije u tom trenutku?

Na temelju pregleda podataka i odgovora tvrtke na pitanja Agencije, u trenutku povlačenja Agencija je smatrala da postoje određeni razlozi za zabrinutost te je njezino privremeno mišljenje bilo da nije moguće dati odobrenje za Upkanz za liječenje neurodegeneracije povezane s pantotemat kinazom. Konkretno, Agencija je bila zabrinuta da se u glavnom ispitivanju nije jasno dokazala učinkovitost lijeka.

Sukladno navedenome, Agencija je u vrijeme povlačenja smatrala kako, zbog izostanka potvrde o učinkovitosti, koristi od lijeka Upkanz ne nadmašuju s njim povezane rizike.

Koje je razloge za povlačenje zahtjeva navela tvrtka?

U svojem [dopisu](#) kojim obavještava Agenciju o povlačenju zahtjeva, tvrtka je navela da se nakon prijenosa lijeka u drugu tvrtku ponovno procjenjuju njegov razvoj i stavljanje u promet.

Ima li ovo povlačenje zahtjeva posljedice za bolesnike u kliničkim ispitivanjima ili u programima milosrdnog davanja lijekova?

Tvrtka je obavijestila Agenciju da nema posljedica za bolesnike koji su uključeni u klinička ispitivanja ili programe milosrdnog davanja lijekova u kojima se koristi Upkanz.