



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

18 september 2020
EMA/529864/2020
EMA/H/C/5004

Intrekking van de aanvraag van een vergunning voor het in de handel brengen van Upkanz (deferipron)

Apotex B.V. heeft zijn aanvraag voor een vergunning voor het in de handel brengen van Upkanz ingetrokken. Upkanz was bedoeld voor de behandeling van pantothenaatkinase-geassocieerde neurodegeneratie.

De firma heeft de aanvraag op 10 augustus 2020 ingetrokken.

Wat is Upkanz en voor welke behandeling was het bedoeld?

Upkanz werd ontwikkeld als geneesmiddel voor de behandeling van pantothenaatkinase-geassocieerde neurodegeneratie (PKAN), een zeldzame erfelijke ziekte die toenemende schade in de hersenen veroorzaakt en kan leiden tot aandoeningen zoals dystonie (ongecontroleerde spierbeweging), parkinsonisme en dementie. De eerste tekenen van de ziekte ontwikkelen zich tijdens de kinderjaren.

Upkanz bevat de werkzame stof deferipron en zou verkrijgbaar zijn in de vorm van een vloeistof voor inname via de mond.

Upkanz werd op 27 juni 2018 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame ziekten) voor de behandeling van neurodegeneratie met ijzerstapeling in de hersenen. Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel vindt u op de website van het Geneesmiddelenbureau: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3182034.

Hoe werkt Upkanz?

Bij patiënten met PKAN hoopt zich ijzer op in delen van de hersenen, waaronder de delen die betrokken zijn bij bewegingscontrole. Deze overmatige hoeveelheid ijzer leidt tot beschadiging. Deferipron, de werkzame stof in Upkanz, is een ijzerchelator, wat betekent dat het zich aan ijzer in het lichaam bindt. Hierdoor wordt voorkomen dat het ijzer schade veroorzaakt en kan het, voornamelijk via de urine, uit het lichaam worden verwijderd. Deferipron zou in de hersenen terecht komen en de ophoping van ijzer in hersencellen helpen voorkomen en zo de hersenschade verminderen.

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



Welke documentatie heeft de firma ingediend als ondersteuning van de aanvraag?

De firma diende resultaten in van een hoofdonderzoek onder 89 PKAN-patiënten vanaf vier jaar oud. In het onderzoek werden veranderingen in de ernst van dystonie bij patiënten die Upkanz toegediend kregen vergeleken met die van patiënten die placebo (een schijnbehandeling) kregen.

In welke beoordelingsfase werd de aanvraag ingetrokken?

De firma trok de aanvraag in nadat het Europees Geneesmiddelenbureau de door haar verstrekte informatie had bestudeerd en vragen voor de firma had opgesteld. Op het ogenblik van de intrekking had de firma de laatste reeks vragen nog niet beantwoord.

Wat was de aanbeveling van het Geneesmiddelenbureau op dat moment?

Op basis van de bestudering van de gegevens en het antwoord van de firma op de vragen van het Geneesmiddelenbureau, had het Bureau op het ogenblik van de intrekking enkele bedenkingen en was het de voorlopige mening toegedaan dat Upkanz voor de behandeling van PKAN niet kon worden goedgekeurd. Het Geneesmiddelenbureau maakte zich met name zorgen over het feit dat uit het hoofdonderzoek niet duidelijk was gebleken dat het geneesmiddel werkzaam was.

Daarom was het Geneesmiddelenbureau op het ogenblik van de intrekking van mening dat, omdat de werkzaamheid niet was aangetoond, de voordelen van Upkanz niet opwogen tegen de risico's ervan.

Welke redenen gaf de firma voor het intrekken van de aanvraag?

In de [brief](#) waarin de firma het Geneesmiddelenbureau op de hoogte brengt van de intrekking van de aanvraag, stelde de firma dat de ontwikkeling en het in de handel brengen van het geneesmiddel na de overdracht van het middel naar een andere firma opnieuw werden beoordeeld.

Heeft deze intrekking gevolgen voor patiënten die deelnemen aan klinische proeven of het geneesmiddel met speciale toestemming krijgen toegediend?

De firma deelde het Geneesmiddelenbureau mee dat er geen gevolgen zijn voor patiënten die momenteel deelnemen aan klinische proeven met Upkanz, noch voor patiënten die het geneesmiddel met speciale toestemming krijgen toegediend.