



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

18 października 2019 r.  
EMA/559309/2019  
EMA/H/C/004468

## Odmowa wydania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu dla leku Vanflyta (kwizartinib)

Europejska Agencja Leków zaleciła odmowę wydania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu dla leku Vanflyta przeznaczonego do stosowania w leczeniu osób dorosłych z ostrą białaczką szpikową (nowotwór białych krwinek).

Agencja wydała opinię dnia 17 października 2019 roku. Firma ubiegająca się o wydanie pozwolenia, Daiichi Sankyo Europe GmbH, może wystąpić o ponowne rozpatrzenie tej opinii w ciągu 15 dni od daty jej otrzymania.

### Czym jest lek Vanflyta i w jakim celu miał być stosowany?

Lek Vanflyta opracowano jako lek przeciwnowotworowy przeznaczony do stosowania w leczeniu rodzaju ostrej białaczki szpikowej z mutacją FLT3-ITD (w której komórki nowotworowe mają zmieniony gen kodujący białko o nazwie FLT3). Lek Vanflyta miał być stosowany u dorosłych pacjentów, u których nastąpił nawrót choroby lub którzy nie odpowiedzieli na wcześniejsze leczenie, oraz w ramach kontynuacji leczenia po przeszczepie krwiotwórczych komórek macierzystych (ang. haematopoietic stem cell transplant, HSCT), czyli komórek, które mogą przekształcić się w różnego rodzaju komórki krwi.

Substancją czynną zawartą w leku Vanflyta jest kwizartinib, a lek miał być dostępny w postaci tabletek.

W dniu 23 marca 2009 r. lek Vanflyta uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach) w leczeniu ostrej białaczki szpikowej. Więcej informacji na temat oznaczenia leku jako sierocy można znaleźć na stronie internetowej Agencji pod adresem: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu309622](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu309622).

### Jak działa lek Vanflyta?

Substancją czynną leku Vanflyta, kwizartinib, jest inhibitorem receptorowej kinazy tyrozynowej. Jej działanie polega na blokowaniu FLT3, białka uczestniczącego w procesie wzrostu i proliferacji komórek. Przewiduje się, że w wyniku zablokowania FLT3 kwizartinib hamuje namnażanie się komórek nowotworowych i tym samym spowalnia postępowanie choroby.

---

**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



## **Jaka dokumentacja została przedstawiona przez firmę na poparcie wniosku?**

Firma przedstawiła wyniki badania przeprowadzonego z udziałem 367 pacjentów z ostrą białaczką szpikową z mutacją FLT3-ITD, u których nie uzyskano odpowiedzi na leczenie lub nastąpił nawrót choroby po leczeniu. Lek Vanflyta porównywano z innymi lekami przeciwnowotworowymi, a głównym kryterium oceny skuteczności był całkowity czas przeżycia pacjenta po zastosowaniu leku Vanflyta lub leków porównawczych.

## **Jakie były główne powody odmowy wydania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu?**

Chociaż wyniki głównego badania wskazywały na nieznaczną poprawę całkowitego czasu przeżycia u pacjentów otrzymujących lek Vanflyta, badanie miało istotne ograniczenia, co oznaczało, że nie można było w sposób dostateczny wykazać skuteczności leku Vanflyta.

W związku z tym Agencja wyraziła opinię, że korzyści ze stosowania leku Vanflyta nie przewyższają ryzyka, i zaleciła odmowę wydania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu.

## **Czy ta odmowa ma wpływ na pacjentów uczestniczących w badaniach klinicznych i programach „leczenia ostatniej szansy”?**

Firma powiadomiła Agencję, że nie ma żadnych skutków dla pacjentów biorących udział w badaniach klinicznych ani programach „leczenia ostatniej szansy” z zastosowaniem leku Vanflyta.

Osoby biorące udział w badaniu klinicznym lub programie leczenia ostatniej szansy, które potrzebują dokładniejszych informacji o leczeniu, powinny zwrócić się do lekarza prowadzącego badanie kliniczne.