



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

27 юни 2013 г.
EMA/442969/2013
EMA/H/C/002349

Въпроси и отговори

Оттегляне на заявлението за разрешаване за употреба на IXinity (trenonacog alfa)

На 13 юни 2013 г. Sangene Europe Ltd. официално уведомява Комитета по лекарствените продукти за хуманна употреба (CHMP), че желае да оттегли заявлението си за разрешаване за употреба на IXinity, показан за лечение и профилактика на кървене при пациенти с хемофилия В.

Какво представлява IXinity?

IXinity е лекарство, което съдържа активното вещество тренонаког алфа (рекомбинантен човешки фактор IX). Очаквало се е да се предлага под формата на прах и разтворител, от които се приготвя инжекционен разтвор (500, 1 000 и 1 500 единици).

За какво се очаква да се използва IXinity?

Очаквало се е IXinity да се използва за профилактика и лечение на епизоди на кървене при пациенти, които са поне на 12-годишна възраст с хемофилия В (наследствено нарушение на кръвосъсирването, причинено от липсата на фактор IX).

Как се очаква да действа IXinity?

Пациентите с хемофилия В нямат достатъчно нива на фактор IX, протеин в кръвта, който помага за нормалното кръвосъсирване. Това причинява проблеми със съсирването на кръвта, което от своя страна води до кървене в ставите, мускулите и вътрешните органи. Активното вещество в IXinity, тренонаког алфа, е форма на човешкия фактор IX, който замества липсващия фактор IX в кръвта, временно контролирайки нарушението в кръвосъсирването.

Активното вещество в IXinity се произвежда по метод, известен като „рекомбинантна ДНК технология“: от клетки, в които е въведен ген (ДНК), което ги прави способни да произвеждат фактора на кръвосъсирването.



Какво е представила фирмата в подкрепа на своето заявление?

Фирмата представя резултатите от проучвания, включващи 42 пациенти с умерена или тежка форма на хемофилия В, които са получавали IXinity за лечение или профилактика на кървене, включително някои пациенти, подложени на операция. Ефективността е измерена чрез оценката на пациентите за това колко добре се контролира кървенето и чрез броя на епизодите на кървене, които се появяват по време на приемане на лекарството.

На какъв етап от оценката е заявлението към момента на оттеглянето?

Заявлението е оттеглено, след като CHMP е оценил документацията, предоставена от фирмата, и е изготвил списъци с въпроси. След като CHMP е оценил отговорите на фирмата на последната група въпроси, все още остават някои неразрешени проблеми.

Какви са препоръките на CHMP към момента?

Въз основа на прегледа на данните и отговорите на фирмата по списъците с въпроси на CHMP, към момента на оттеглянето CHMP има известни забележки и изразява предварително становище, че IXinity не може да бъде одобрен за лечение и профилактика на епизоди на кървене при пациенти с хемофилия В.

Въпреки че проучванията са показали доказателства за ефективността на IXinity, те също така показват, че пациентите развиват неочаквано високо ниво на антитела срещу протеини от клетките, използвани за приготвянето на IXinity, които са налични и в лекарството. Фирмата усъвършенства производствения процес на IXinity за отстраняване на тези протеини, но не е ясно дали промененото лекарство ще действа по същия начин като оригиналния продукт в проучванията и CHMP препоръчва по-нататъшно проучване при пациенти.

Поради това към момента на оттеглянето становището на CHMP е, че въз основа на наличните към момента данни съотношението полза/риск на променения продукт IXinity е отрицателно.

Какви причини посочва фирмата за оттегляне на заявлението?

В своето писмо, с което уведомява Агенцията за оттеглянето на заявлението, фирмата заявява, че решението за оттегляне на заявлението се основава на факта, че необходимите допълнителни данни в отговор на опасенията на CHMP не могат да се предоставят в рамките на регулаторния период от време. Фирмата изразява своето намерение да кандидатства отново за разрешение за употреба, след като данните бъдат на разположение.

Писмото за оттегляне може да се намери [тук](#).

Какви са последствията от оттеглянето за пациенти в клинични изпитвания?

Фирмата информира CHMP, че понастоящем пациентите, включени в клинични изпитвания, ще продължат да получават IXinity и ще бъдат прехвърлени към променения продукт, след като преразгледаните правила за провеждането на изпитванията бъдат одобрени.

Ако участвате в клинично изпитване и се нуждаете от повече информация за Вашето лечение, свържете се с лекаря, който Ви го е предписал.