

21. července 2017
EMA/440995/2017
EMA/H/C/003934

Otázky a odpovědi

Stažení žádosti o vydání rozhodnutí o registraci přípravku Infinia (alfa-1-antitrypsin)

Dne 21. června 2017 společnost Kamada BioPharma Limited oficiálně oznámila Výboru pro humánní léčivé přípravky (CHMP), že se rozhodla stáhnout svou žádost o vydání rozhodnutí o registraci přípravku Infinia určeného k léčbě dospělých s onemocněním plic v důsledku vrozeného nedostatku alfa-1-antitrypsinu.

Co je Infinia?

Infinia je léčivý přípravek, který obsahuje léčivou látku alfa-1-antitrypsin (rovněž známý jako inhibitor alfa₁-proteinázy). K dispozici měl být ve formě roztoku k inhalaci.

K čemu měl být přípravek Infinia používán?

Léčivý přípravek měl být používán k léčbě onemocnění plic u dospělých s kongenitálním (vrozeným) nedostatkem alfa-1-antitrypsinu. Nedostatek tohoto enzymu může způsobit poškození plic (jako je emfyzém a obstrukce dýchacích cest), což vede k potížím s dýcháním.

Přípravek Infinia byl označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“ dne 16. listopadu 2004. Přípravek měl být určen k léčbě emfyzému v důsledku vrozeného nedostatku alfa-1-antitrypsinu. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete [zde](#).

V EU jsou registrovány další léčivé přípravky obsahující alfa-1-antitrypsin, které jsou určeny k léčbě stejného onemocnění, tyto přípravky se nicméně podávají ve formě infuze (kapání) do žíly.

Jak přípravek Infinia působí?

Léčivá látka v přípravku Infinia, alfa-1-antitrypsin, je bílkovina v krvi, která chrání plicní tkáň před poškozením. Získává se z lidské krve a měla nahradit chybějící bílkovinu v plicích pacientů s nedostatkem alfa-1-antitrypsinu.

Jakou dokumentaci předložila společnost na podporu své žádosti?

Společnost předložila výsledky hlavní studie, do níž bylo zařazeno 168 pacientů a která se zabývala účinky tohoto léčivého přípravku na exacerbaci (náhlé zhoršení příznaků) onemocnění. Tento léčivý přípravek byl porovnáván s placebem (neúčinným přípravkem) a hlavní měřítkem účinnosti byla doba, po kterou u pacientů nedošlo k exacerbaci.

V jaké fázi bylo posuzování žádosti v době, kdy byla stažena?

Žádost byla stažena poté, co výbor CHMP posoudil dokumentaci předloženou společností a vypracoval seznamy otázek. Výbor CHMP vyhodnotil odpovědi společnosti na poslední sadu otázek, některé body však zůstaly nedořešené.

Jaké bylo doporučení výboru CHMP v dané době?

Na základě vyhodnocení dostupných údajů měl výbor CHMP v době stažení žádosti určité pochybnosti a jeho prozatímní stanovisko bylo, že přípravek Infinia nemůže být schválen k léčbě dospělých s onemocněním plic v důsledku vrozeného nedostatku alfa-1-antitrypsinu.

Výbor se domníval, že studie neprokázala příznivé účinky u zkoumané populace. Kromě toho existovaly obavy týkající se profilu snášenlivosti a bezpečnosti léčivého přípravku, protože pacienti, kteří užívali přípravek Infinia, museli častěji ukončit léčbu v důsledku nežádoucích účinků, než pacienti užívající placebo. Rovněž byly vyjádřeny obavy, že pacienti, kteří užívají přípravek Infinia, mohou proti němu vytvářet protilátky, které by mohly snížit jeho účinky nebo zvýšit náchylnost pacientů k alergickým reakcím.

Výbor CHMP proto v době stažení žádosti zastával názor, že přínosy přípravku Infinia nepřevyšují jeho rizika.

Jaké důvody stažení žádosti uvedla společnost?

Společnost ve svém dopise, v němž uvědomuje agenturu o stažení žádosti, uvedla, že potřebuje více času na shromáždění dalších informací, které výbor CHMP požadoval v souvislosti s touto žádostí.

Tento dopis je k dispozici [zde](#).

Jaké jsou důsledky stažení žádosti pro pacienty zařazené do klinických studií nebo do programů, v nichž je přípravek Infinia podáván v rámci léčby z humanitních důvodů (na základě principu tzv. compassionate use)?

Společnost informovala výbor CHMP, že stažení žádosti nemá žádné důsledky pro pacienty, kteří jsou v současné době zařazení do klinických studií nebo do programů, v nichž je přípravek Infinia podáván v rámci léčby z humanitních důvodů.

Pokud jste zařazení do klinické studie nebo do programu, v němž je přípravek Infinia podáván v rámci léčby z humanitních důvodů, a potřebujete získat více informací o své léčbě, obraťte se na lékaře, který vám přípravek podává.