

27. června 2013
EMA/442970/2013
EMA/H/C/002349

Otázky a odpovědi

Stažení žádosti o vydání rozhodnutí o registraci přípravku IXinity (trenonakog alfa)

Dne 13. června 2013 společnost Cangene Europe Ltd. oficiálně oznámila Výboru pro humánní léčivé přípravky (CHMP), že se rozhodla stáhnout svou žádost o vydání rozhodnutí o registraci přípravku IXinity určeného k léčbě a prevenci krvácení u pacientů s hemofilii B.

Co je IXinity?

IXinity je léčivý přípravek, který obsahuje léčivou látku trenonakog alfa (rekombinantní lidský faktor IX). K dispozici měl být ve formě prášku a rozpouštědla pro přípravu injekčního roztoku (500, 1 000 a 1 500 jednotek).

K čemu měl být přípravek IXinity používán?

Přípravek IXinity se měl používat k prevenci a léčbě krvácivých epizod u pacientů s hemofilii B (vrozenou poruchou krvácivosti, způsobenou nedostatkem faktoru IX) starších 12 let.

Jak by měl přípravek IXinity působit?

Pacienti s hemofilii B nemají dostatečné hladiny faktoru IX, proteinu v krvi, který napomáhá normálnímu srážení krve. To způsobuje problémy s krevním srážením, což vede ke krvácení do kloubů, svalů a vnitřních orgánů. Léčivá látka v přípravku IXinity, trenonakog alfa, je formou lidského faktoru IX, která nahrazuje chybějící faktor IX v krvi, čímž dočasně napomáhá zvládnout krvácivou poruchu.

Účinná látka v přípravku IXinity se vyrábí metodou označovanou jako „technologie rekombinantní DNA“: je vytvářena buňkami, do kterých byl vložen gen (DNA), díky němuž je schopná produkovat srážecí faktor.

Jakou dokumentaci předložila společnost na podporu své žádosti?

Společnost předložila výsledky studií zahrnujících 42 pacientů se středně závažnou nebo závažnou hemofilií B, kterým byl podáván přípravek IXinity pro léčbu či prevenci krvácení, včetně některých pacientů podstupujících chirurgický výkon. Účinnost byla měřena na základě pacientova hodnocení míry kontroly krvácení a na základě počtu krvácivých epizod, které se objevily při užívání léčivého přípravku.

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 a odpovědí společnosti na seznamy otázek výboru CHMP v době stažení žádosti měl výbor CHMP určité pochybnosti a jeho prozatímní stanovisko bylo, že přípravek IXinity nemůže být schválen k prevenci a léčbě krvácivých epizod u pacientů s hemofilií B.

Ačkoli studie poskytly důkazy o účinnosti přípravku IXinity, ukázaly také, že u pacientů se vytvořily nečekaně vysoké hladiny autoprotilátek proti proteinu z buněk používaných k výrobě přípravku IXinity, který byl také přítomen v léčivém přípravku. Společnost upravila výrobní postup přípravku IXinity tak, aby tyto proteiny byly odstraněny, ale není jasné, zda upravený léčivý přípravek bude fungovat stejným způsobem jako původní přípravek ve studiích, a výbor CHMP doporučil další studii u pacientů.

V čase stažení žádosti byl tedy výbor CHMP toho názoru, že na základě v současnosti dostupných údajů je poměr přínosů a rizik upraveného přípravku IXinity negativní.

Jaké důvody stažení žádosti uvedla společnost?

V dopise, kterým společnost uvědomila agenturu o stažení žádosti, společnost uvedla, že rozhodnutí stáhnout žádost je založeno na skutečnosti, že další údaje nutné k zodpovězení otázek výboru CHMP nebudou k dispozici v právně vymezeném časovém rámci. Společnost vyjádřila svůj úmysl opakovaně požádat o registraci, jakmile budou údaje k dispozici.

Dopis ohledně stažení žádosti je k dispozici [zde](#).

Jaké jsou důsledky stažení žádosti pro pacienty zařazené do klinických studií?

Společnost informovala výbor CHMP, že pacienti, kteří jsou v současnosti zařazení do klinických studií, budou i nadále dostávat přípravek IXinity a budou převedeni na upravený přípravek, jakmile budou schválena revidovaná pravidla pro provádění studií.

Pokud jste zařazení do klinické studie a potřebujete získat více informací o své léčbě, kontaktujte lékaře, který vám přípravek podává.