

Den 27. juni 2013
EMA/442971/2013
EMA/H/C/002349

Spørgsmål og svar

Tilbagetrækning af ansøgningen om markedsføringstilladelse for IXinity (trenonacog alfa)

Den 13. juni 2013 meddelte Cangene Europe Ltd. officielt til Udvalget for Lægemidler til Mennesker (CHMP), at virksomheden ønsker at trække sin ansøgning om markedsføringstilladelse tilbage for IXinity til behandling og forebyggelse af blødning hos patienter med hæmofili B.

Hvad er IXinity?

IXinity er et lægemiddel, der indeholder det aktive stof trenonacog alfa (rekombinant human faktor IX). Det forventedes leveret som et pulver og solvens til fremstilling af en injektionsvæske, opløsning (500, 1 000 og 1 500 enheder).

Hvad forventedes IXinity anvendt til?

IXinity forventedes anvendt til forebyggelse og behandling af blødningsepisoder hos patienter over 12 år med hæmofili B (en arvelig blødningsforstyrrelse, der skyldes mangel på faktor IX).

Hvordan forventes IXinity at virke?

Patienter med hæmofili B har ikke tilstrækkeligt med faktor IX, et protein i blodet, der medvirker til blodets normale koagulation (størkning). Dette medfører problemer med blodets koagulation, så der opstår blødning i led, muskler og indre organer. Det aktive stof i IXinity, trenonacog alfa, er en form for human faktor IX. Det erstatter den manglende faktor IX i blodet, så blødningsforstyrrelsen midlertidigt er under kontrol.

Det aktive stof i IXinity fremstilles ved "rekombinant DNA-teknologi". Det produceres ved dyrkning af celler, der har fået indsat et gen (DNA), som gør dem i stand til at producere koagulationsfaktoren.

Hvilken dokumentation fremlagde virksomheden i forbindelse med ansøgningen?

Virksomheden fremlagde resultaterne af undersøgelser med 42 patienter, der havde moderat eller svær hæmofili B, og som fik IXinity til behandling eller forebyggelse af blødning. Nogle af dem var operationspatienter. Virkningen blev bedømt på patienternes vurdering af, hvor godt blødningen var kontrolleret, og på det antal blødningsepisoder, der forekom, mens de var i behandling med lægemidlet.

Hvor langt var vurderingen af ansøgningen nået, da den blev trukket tilbage?

Ansøgningen blev trukket tilbage, efter at CHMP havde vurderet den dokumentation, virksomheden havde indsendt, og stillet en række spørgsmål. Efter at CHMP havde vurderet virksomhedens besvarelse af den sidste runde spørgsmål, var der fortsat visse uafklarede punkter.

Hvad anbefalede CHMP på daværende tidspunkt?

På baggrund af gennemgangen af dataene og virksomhedens besvarelse af CHMP's lister med spørgsmål havde CHMP på tidspunktet for tilbagetrækningen af ansøgningen visse betænkeligheder og var af den foreløbige opfattelse, at IXinity ikke kunne være blevet godkendt til forebyggelse og behandling af blødningsepisoder hos patienter med hæmofili B.

Skønt undersøgelserne havde vist, at IXinity var effektivt, havde de også vist, at patienterne udviklede et uventet højt niveau af antistoffer mod proteiner fra de celler, der blev anvendt til fremstilling af IXinity, og som også fandtes i lægemidlet. Virksomheden forbedrede fremstillingsprocessen for IXinity for at fjerne disse proteiner, men da det ikke var klart, om det forbedrede produkt ville virke på samme måde som det oprindelige produkt anvendt i undersøgelserne, anbefalede CHMP en ny undersøgelse hos patienter.

Derfor var CHMP på tidspunktet for tilbagetrækningen af den opfattelse, at forholdet mellem fordele og risici for det forbedrede produkt IXinity var negativt, baseret på de foreliggende oplysninger.

Hvilken begrundelse gav virksomheden for tilbagetrækningen af ansøgningen?

I sit brev til agenturet om tilbagetrækningen af ansøgningen anførte virksomheden, at den havde besluttet at trække ansøgningen tilbage, fordi det inden for den forskriftsmæssige frist ikke var muligt at fremskaffe de nødvendige supplerende data til besvarelse af CHMP's spørgsmål. Virksomheden oplyste, at den havde til hensigt igen at ansøge om markedsføringstilladelse, når disse data forelå.

Brevet om tilbagetrækningen kan ses [her](#).

Hvilke konsekvenser har tilbagetrækningen for patienter, der deltager i kliniske undersøgelser med IXinity?

Virksomheden oplyste til CHMP, at patienter, der på nuværende tidspunkt deltager i kliniske undersøgelser, fortsat vil få IXinity og vil overgå til det forbedrede produkt, når ændrede regler for udførelsen af undersøgelserne er godkendt.

Hvis du deltager i en klinisk undersøgelse med IXinity og har behov for yderligere oplysninger om din behandling, kan du kontakte den læge, der giver dig behandlingen.