



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

21 Ιουλίου 2017
EMA/440995/2017
EMA/H/C/003934

Ερωτήσεις και απαντήσεις

Απόσυρση της αίτησης για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας στο Infinia (άλφα-1 αντιθρυψίνη)

Στις 21 Ιουνίου 2017, η Kamada BioPharma Limited κοινοποίησε επίσημα στην Επιτροπή Φαρμάκων για Ανθρώπινη Χρήση (CHMP) την πρόθεσή της να αποσύρει την αίτηση για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας για το Infinia, για τη θεραπεία των ενηλίκων που πάσχουν από πνευμονική νόσο λόγω συγγενούς ανεπάρκειας της άλφα-1 αντιθρυψίνης.

Τι είναι το Infinia;

Το Infinia είναι ένα φάρμακο που περιέχει τη δραστική ουσία άλφα-1 αντιθρυψίνη (γνωστή και ως αναστολέας της άλφα₁ πρωτεΐνάσης). Επρόκειτο να διατεθεί υπό μορφή εισπνεόμενου διαλύματος.

Σε ποιες περιπτώσεις επρόκειτο να χρησιμοποιηθεί το Infinia;

Το φάρμακο επρόκειτο να χρησιμοποιηθεί για τη θεραπεία πνευμονικής νόσου σε ενήλικες με συγγενή (εγγενή) ανεπάρκεια της άλφα-1 αντιθρυψίνης. Η έλλειψη του ενζύμου μπορεί να προκαλέσει βλάβη στους πνεύμονες (όπως εμφύσημα και απόφραξη αεραγωγών), η οποία οδηγεί σε αναπνευστικά προβλήματα.

Το Infinia χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χορηγείται σε σπάνιες ασθένειες) στις 16 Νοεμβρίου 2004 για τη θεραπεία εμφυσήματος που οφείλεται σε συγγενή ανεπάρκεια της άλφα-1 αντιθρυψίνης. Περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τον χαρακτηρισμό των ορφανών φαρμάκων διατίθενται [εδώ](#).

Άλλα φάρμακα που περιέχουν άλφα-1 αντιθρυψίνη έχουν λάβει έγκριση στην ΕΕ για την ίδια ασθένεια, αλλά χορηγούνται ενδοφλεβίως (ενδοφλέβια έγχυση κατά σταγόνες).



Πώς δρα το Infinia;

Η δραστική ουσία του Infinia, ο αναστολέας της άλφα-1 αντιθρυψίνης, είναι μια πρωτεΐνη του αίματος η οποία προστατεύει τους ιστούς των πνευμόνων από βλάβες. Λαμβάνεται από το ανθρώπινο αίμα και επρόκειτο να αντικαταστήσει την πρωτεΐνη που λείπει στους πνεύμονες των ασθενών που πάσχουν από ανεπάρκεια της άλφα-1 αντιθρυψίνης.

Τι είδους τεκμηρίωση υπέβαλε η παρασκευάστρια εταιρεία προς στήριξη της αίτησής της;

Η εταιρεία παρουσίασε τα αποτελέσματα μιας κύριας μελέτης σε 168 ασθενείς, στο πλαίσιο της οποίας εξετάστηκαν οι επιδράσεις του φαρμάκου στην παρόξυνση (ξαφνική επιδείνωση των συμπτωμάτων) της ασθένειας. Το φάρμακο συγκρίθηκε με ψευδοφάρμακο (εικονική θεραπεία) και το βασικό μέτρο της αποτελεσματικότητας ήταν το χρονικό διάστημα που διένυαν οι ασθενείς χωρίς παρόξυνση.

Σε ποιο στάδιο της αξιολόγησης βρισκόταν η αίτηση τη στιγμή της απόσυρσης;

Η αίτηση αποσύρθηκε αφού η CHMP είχε αξιολογήσει την τεκμηρίωση που είχε υποβληθεί από την εταιρεία και είχε καταρτίσει καταλόγους ερωτήσεων. Αφότου η CHMP ολοκλήρωσε την αξιολόγηση των απαντήσεων της εταιρείας στον τελευταίο γύρο ερωτήσεων, εκκρεμούσαν ακόμη ορισμένα ζητήματα.

Ποια ήταν η σύσταση της CHMP τη στιγμή της απόσυρσης;

Βάσει της εξέτασης των υποβληθέντων στοιχείων τη στιγμή της απόσυρσης, η CHMP εξέφρασε ορισμένες ανησυχίες και διατύπωσε την προσωρινή γνώμη ότι το Infinia δεν θα μπορούσε να έχει εγκριθεί για τη θεραπεία των ενηλίκων που πάσχουν από πνευμονική νόσο λόγω συγγενούς ανεπάρκειας της άλφα-1 αντιθρυψίνης.

Η Επιτροπή θεώρησε ότι η μελέτη δεν απέδειξε τις ωφέλιμες επιδράσεις στον εξεταζόμενο πληθυσμό. Επίσης, εκφράστηκαν ανησυχίες σχετικά με την ανεκτικότητα και το προφίλ ασφαλείας του φαρμάκου, καθώς οι ασθενείς που λάμβαναν το Infinia έπρεπε να σταματούν τη θεραπεία λόγω συχνότερων παρενεργειών σε σύγκριση με τους ασθενείς που λάμβαναν το ψευδοφάρμακο. Εκφράστηκαν ακόμα ανησυχίες επειδή οι ασθενείς που λαμβάνουν το Infinia είναι πιθανό να παράγουν αντισώματα κατά του ίδιου του φαρμάκου, γεγονός το οποίο μπορεί να μειώσει τις επιδράσεις του ή να κάνει τους ασθενείς περισσότερο επιρρεπείς σε αλλεργικές αντιδράσεις.

Ως εκ τούτου, τη στιγμή της απόσυρσης, η CHMP διατύπωσε τη γνώμη ότι τα οφέλη του Infinia δεν υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό.

Ποιοι ήταν οι λόγοι απόσυρσης της αίτησης που παρέθεσε η εταιρεία;

Στην επιστολή της με την οποία κοινοποιεί στον Οργανισμό την απόσυρση της αίτησης, η εταιρεία δήλωσε ότι χρειαζόταν περισσότερο χρόνο για τη συλλογή των επιπλέον πληροφοριών που ζήτησε η CHMP σε σχέση με την παρούσα αίτηση.

Η επιστολή απόσυρσης διατίθεται [εδώ](#).

Ποιες είναι οι επιπτώσεις από την απόσυρση της αίτησης στους ασθενείς που συμμετέχουν σε κλινικές δοκιμές ή προγράμματα παρηγορητικής χρήσης;

Η εταιρεία ενημέρωσε την CHMP ότι δεν υπάρχουν συνέπειες για τους ασθενείς που συμμετέχουν επί του παρόντος σε κλινικές δοκιμές ή προγράμματα παρηγορητικής χρήσης με το Infinia.

Εάν συμμετέχετε σε κλινική δοκιμή ή πρόγραμμα παρηγορητικής χρήσης και χρειάζεστε περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη θεραπεία σας, συμβουλευθείτε τον γιατρό που σας τη χορηγεί.