



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

27 Ιουνίου 2013
EMA/442973/2013
EMA/H/C/002349

Ερωτήσεις και απαντήσεις

Απόσυρση της αίτησης για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας για το IXinity (trenonacog alfa)

Στις 13 Ιουνίου 2013, η Cangene Europe Ltd. κοινοποίησε επίσημα στην Επιτροπή Φαρμάκων για Ανθρώπινη Χρήση (CHMP) την πρόθεσή της να αποσύρει την αίτηση για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας για το IXinity, για τη θεραπεία και την πρόληψη αιμορραγιών σε ασθενείς με αιμοφιλία Β.

Τι είναι το IXinity;

Το IXinity είναι ένα φάρμακο που περιέχει τη δραστική ουσία trenonacog alfa (ανασυνδυσασμένος ανθρώπινος παράγοντας πήξης ΙΧ). Αναμενόταν να διατεθεί υπό μορφή κόνεως και διαλύτη για την παρασκευή ενέσιμου διαλύματος (500, 1.000 και 1.500 μονάδες).

Σε ποιες περιπτώσεις επρόκειτο να χρησιμοποιηθεί το IXinity;

Το IXinity επρόκειτο να χρησιμοποιηθεί για την πρόληψη και τη θεραπεία αιμορραγικών επεισοδίων σε ασθενείς ηλικίας 12 ετών και άνω με αιμοφιλία Β (κληρονομική αιμορραγική διαταραχή λόγω έλλειψης του παράγοντα πήξης ΙΧ).

Ποια είναι η αναμενόμενη δράση του IXinity;

Στους ασθενείς με αιμοφιλία Β παρατηρείται έλλειψη επαρκών επιπέδων του παράγοντα ΙΧ, μιας πρωτεΐνης που συμβάλλει στη φυσιολογική πήξη του αίματος. Η εν λόγω έλλειψη προκαλεί προβλήματα στην πήξη του αίματος με αποτέλεσμα αιμορραγίες στις αρθρώσεις, στους μύες και στα εσωτερικά όργανα. Η δραστική ουσία του IXinity, η trenonacog alfa, είναι ένας τύπος του ανθρώπινου παράγοντα πήξης ΙΧ ο οποίος υποκαθιστά τον απόντα αιμοποιητικό παράγοντα, ελέγχοντας προσωρινά την αιμορραγική διαταραχή.

Η δραστική ουσία του IXinity παρασκευάζεται με μία μέθοδο γνωστή ως «τεχνολογία ανασυνδυσασμένου DNA»: παράγεται από κύτταρα στα οποία έχει ενσωματωθεί ένα γονίδιο (DNA) το οποίο τα καθιστά ικανά να παράγουν τον παράγοντα πήξης.



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

Η εταιρεία υπέβαλε τα αποτελέσματα μελετών στις οποίες μετείχαν 42 ασθενείς οι οποίοι έπασχαν από μέτρια ή σοβαρή αιμοφιλία Β και έλαβαν IXinity για θεραπεία ή πρόληψη της αιμορραγίας, περιλαμβανομένων ορισμένων ασθενών που υποβλήθηκαν σε χειρουργική επέμβαση. Η αποτελεσματικότητα του φαρμάκου υπολογίστηκε βάσει της αξιολόγησης των ασθενών σχετικά με την αποτελεσματικότητα του ελέγχου της αιμορραγίας τους και του αριθμού των αιμορραγικών επεισοδίων που σημειώθηκαν κατά τη λήψη του φαρμάκου.

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

Η αίτηση αποσύρθηκε αφού η CHMP είχε αξιολογήσει την τεκμηρίωση που υποβλήθηκε από την εταιρεία και είχε καταρτίσει κατάλογο ερωτήσεων. Μετά την ολοκλήρωση της αξιολόγησης των απαντήσεων της εταιρείας στον τελευταίο γύρο ερωτήσεων από την CHMP, εκκρεμούσαν ακόμη ορισμένα ζητήματα.

Ποια ήταν η σύσταση της CHMP τη στιγμή της απόσυρσης;

Βάσει της εξέτασης των στοιχείων και των απαντήσεων της εταιρείας στον κατάλογο ερωτήσεων της CHMP, τη στιγμή της απόσυρσης η CHMP εξέφρασε κάποιες ανησυχίες και διατύπωσε την προσωρινή γνώμη ότι το IXinity δεν μπορεί να εγκριθεί για την πρόληψη και τη θεραπεία των αιμορραγικών επεισοδίων σε ασθενείς με αιμοφιλία Β.

Παρότι οι μελέτες κατέδειξαν την αποτελεσματικότητα του IXinity, κατέδειξαν επίσης ότι οι ασθενείς ανέπτυξαν μη αναμενόμενα υψηλά επίπεδα αντισωμάτων κατά των πρωτεϊνών των κυττάρων που χρησιμοποιήθηκαν για την παρασκευή του IXinity, οι οποίες εμπεριέχονται και στο φάρμακο. Η εταιρεία επανεξέτασε τη διαδικασία παραγωγής για το IXinity προκειμένου να αφαιρεθούν οι εν λόγω πρωτεΐνες, ωστόσο δεν κατέστη σαφές εάν η δράση του βελτιωμένου φαρμάκου θα ήταν ίδια με αυτήν του αρχικού προϊόντος που χρησιμοποιήθηκε στις μελέτες. Για τον λόγο αυτό η CHMP εισηγήθηκε τη διεξαγωγή περαιτέρω μελετών σε ασθενείς.

Ως εκ τούτου, τη στιγμή της απόσυρσης, η CHMP διατύπωσε τη γνώμη ότι βάσει των διαθέσιμων δεδομένων η σχέση οφέλους/κινδύνου για το βελτιωμένο προϊόν IXinity είναι αρνητική.

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

Στην επιστολή με την οποία κοινοποιεί στον Οργανισμό την απόσυρση της αίτησης, η εταιρεία δηλώνει ότι η απόφασή της να αποσύρει την αίτηση βασίστηκε στην αδυναμία της να υποβάλει εντός της προβλεπόμενης προθεσμίας τα επιπρόσθετα δεδομένα που απαιτούνται για τη διευθέτηση των ανησυχιών της CHMP. Η εταιρεία εξέφρασε την πρόθεσή της να υποβάλλει εκ νέου αίτηση για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας μόλις τα εν λόγω δεδομένα είναι διαθέσιμα.

Η επιστολή απόσυρσης διατίθεται [εδώ](#).

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

Η εταιρεία ενημέρωσε τη CHMP ότι οι ασθενείς που μετέχουν επί του παρόντος σε κλινικές δοκιμές θα συνεχίσουν να λαμβάνουν το IXinity, το οποίο θα αντικατασταθεί από το βελτιωμένο προϊόν μόλις εγκριθούν οι αναθεωρημένοι κανόνες σχετικά με τη διεξαγωγή των δοκιμών.

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