



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

21 novembre 2014
EMA/706787/2014
EMA/H/C/000334/II/79

Domande e risposte

Ritiro della domanda di modifica dell'autorizzazione all'immissione in commercio per Ceprothin (proteina C di origine umana)

Il 22 ottobre 2014 Baxter AG ha notificato ufficialmente al comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) la sua intenzione di ritirare la domanda di autorizzazione all'immissione in commercio per una nuova indicazione di Ceprothin per il trattamento del deficit di proteina C acquisito.

Che cos'è Ceprothin?

Ceprothin è un medicinale usato nel trattamento di pazienti con grave deficit di proteina C di origine congenita (ereditaria) e nella prevenzione di breve termine di coaguli ematici in pazienti con grave deficit congenito di proteina C. Informazioni dettagliate sull'uso approvato di Ceprothin nell'Unione europea (UE) possono essere rinvenute [qui](#).

Ceprothin contiene il principio attivo proteina C di origine umana. È autorizzato nell'UE dal luglio 2001.

Per che cosa avrebbe dovuto essere usato Ceprothin?

Ceprothin avrebbe dovuto essere usato in pazienti con deficit di proteina C "acquisito". "Acquisito" significa che la malattia non è ereditata ma si è sviluppata nel corso della vita del paziente e può insorgere per varie ragioni tra cui infezione grave, epatopatia o deficit di vitamina K.

Come avrebbe dovuto agire Ceprothin?

Ceprothin contiene proteina C di origine umana, estratta e purificata da plasma umano (la parte liquida del sangue). Nell'organismo la proteina C controlla la generazione di trombina, una delle proteine implicate nella coagulazione del sangue. La proteina C rallenta la produzione di trombina e, di conseguenza, ritarda la coagulazione. Un'iniezione di Ceprothin produce un aumento immediato ma



temporaneo dei livelli di proteina C, che permette di controllare i disturbi coagulatori nei pazienti con deficit di proteina C.

Quale documentazione ha presentato la ditta a sostegno della domanda?

Il richiedente ha presentato dati provenienti da 2 studi principali che hanno interessato un totale di 52 bambini con deficit di proteina C dovuta a grave infezione, nell'ambito dei quali Ceprotin è stato confrontato con placebo (un trattamento fittizio). Sono stati forniti inoltre risultati di uno studio retrospettivo basato sulle cartelle cliniche di 94 bambini con deficit di proteina C di origine congenita o acquisita.

A che punto della valutazione si trovava la domanda quando è stata ritirata?

La domanda è stata ritirata quando il CHMP stava ancora valutando la documentazione iniziale fornita dalla ditta.

Qual era la raccomandazione del CHMP a quel punto?

Il CHMP stava valutando la documentazione iniziale fornita dalla ditta e non aveva ancora espresso raccomandazioni.

Quali sono i motivi invocati dalla ditta per il ritiro della domanda?

Nella lettera con cui notifica all'Agenzia il ritiro della domanda, la ditta ha affermato di aver ritirato la domanda perché, nella sua valutazione preliminare, il CHMP aveva richiesto ulteriori dati clinici a sostegno dell'efficacia di Ceprotin anche in pazienti con deficit di proteina C acquisito.

La lettera con cui la ditta notifica il ritiro della domanda è consultabile [qui](#).

Quali sono le conseguenze del ritiro per i pazienti inseriti in studi clinici o in programmi di uso compassionevole?

La ditta ha informato il CHMP che non vi saranno conseguenze per i pazienti attualmente inseriti in studi clinici o in programmi di uso compassionevole.

Le persone inserite in uno studio clinico o in un programma di uso compassionevole che abbiano bisogno di maggiori informazioni sul loro trattamento possono consultare il medico che le sta trattando.

Che cosa succede nel caso di Ceprotin usato per il trattamento di pazienti con grave deficit congenito di proteina C?

Non vi sono conseguenze per l'uso di Ceprotin nell'indicazione autorizzata.

Il riassunto del parere del comitato per i medicinali orfani per Ceprotin è disponibile sul sito Internet dell'Agenzia: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).