



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

21. juli 2017
EMA/440995/2017
EMA/H/C/003934

Spørgsmål og svar

Tilbagetrækning af ansøgningen om markedsføringstilladelse for Infinia (alfa-1-antitrypsin)

Den 21. juni 2017 meddelte Kamada BioPharma Limited officielt Udvalget for Humanmedicinske Lægemidler (CHMP), at virksomheden ønsker at trække sin ansøgning om markedsføringstilladelse tilbage for Infinia til behandling af voksne med lungesygdom, der skyldes medfødt alfa-1-antitrypsinmangel.

Hvad er Infinia?

Infinia er et lægemiddel, der indeholder det aktive stof alfa-1-antitrypsin (også kendt som alfa₁-proteasehæmmer). Det var meningen, at det skulle kunne fås som inhalationsvæske, opløsning.

Hvad forventedes Infinia anvendt til?

Lægemidlet forventedes anvendt til behandling af lungesygdom hos voksne med medfødt alfa-1-antitrypsinmangel. En mangel på dette enzym kan medføre skader på lungerne (såsom emfysem og luftvejsobstruktion), der giver vejrtrækningsproblemer.

Infinia blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 16. november 2004 til behandling af emfysem, der skyldes medfødt alfa-1-antitrypsinmangel. Yderligere oplysninger om udpegelsen som lægemiddel til sjældne sygdomme findes [her](#).

Andre lægemidler, der indeholder alfa-1-antitrypsin, er godkendt i EU til den samme sygdom, men gives som infusion (drop i en vene).



Hvordan virker Infinia?

Det aktive stof i Infinia, alfa-1-antitrypsin, er et protein i blodet, der beskytter lungevævet mod skader. Det udvindes af humant blod og var beregnet på at erstatte det manglende protein i lungerne hos patienter med alfa-1-antitrypsinmangel.

Hvilken dokumentation fremlagde virksomheden i forbindelse med ansøgningen til CHMP?

Virksomheden fremlagde resultater af en hovedundersøgelse hos 168 patienter vedrørende dette lægemiddels virkninger på exacerbationer af sygdommen (pludselig forværring af symptomerne). Lægemidlet blev sammenlignet med placebo (en uvirksom behandling), og hovedeffekt målet var længden af det tidsrum, hvor patienterne ikke havde nogen exacerbationer.

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

Ansøgningen blev trukket tilbage, efter CHMP havde vurderet den dokumentation, som virksomheden havde fremlagt, og udarbejdet lister med spørgsmål. Efter CHMP havde vurderet virksomhedens svar på den sidste spørgsmålsrunde, var der fortsat visse uafklarede punkter.

Hvad anbefalede CHMP på daværende tidspunkt?

På baggrund af gennemgangen af dataene på tidspunktet for tilbagetrækningen af ansøgningen havde CHMP visse betænkeligheder og var af den foreløbige opfattelse, at Infinia ikke kunne være blevet godkendt til behandling af voksne med lungesygdom, der skyldes medfødt alfa-1-antitrypsinmangel.

Udvalget var af den opfattelse, at undersøgelsen ikke viste gavnlige virkninger hos den undersøgte population. Endvidere var der betænkeligheder med hensyn til lægemidlets tolerabilitet og sikkerhedsprofil, eftersom patienter, der tog Infinia, oftere måtte stoppe behandlingen på grund af bivirkninger end patienter, der tog placebo. Der var ligeledes betænkeligheder med hensyn til risikoen for, at patienter, der tager Infinia, danner antistoffer mod det, hvilket kunne mindske dets virkning eller gøre patienterne mere udsat for allergiske reaktioner.

Derfor var CHMP på tidspunktet for tilbagetrækningen af den opfattelse, at fordelene ved Infinia ikke opvejede risiciene.

Hvilke begrundelser gav virksomheden for tilbagetrækningen af ansøgningen?

I sit brev til agenturet om tilbagetrækningen af ansøgningen anførte virksomheden, at den havde brug for mere tid til at indsamle de supplerende oplysninger, som CHMP anmodede om i forbindelse med denne ansøgning.

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

Hvilke konsekvenser har tilbagetrækningen for patienter, der deltager i kliniske undersøgelser eller i programmer for anvendelse med særlig udleveringstilladelse?

Virksomheden har til CHMP oplyst, at der ikke er nogen konsekvenser for patienter, som i øjeblikket deltager i kliniske undersøgelser eller i programmer for anvendelse af Infinia med særlig udleveringstilladelse.

Hvis du deltager i en klinisk undersøgelse eller i et program for anvendelse med særlig udleveringstilladelse og har behov for yderligere oplysninger om din behandling, kan du kontakte den læge, der behandler dig.