



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Kysymyksiä ja vastauksia

Infinia-lääkevalmistetta (alfa-1-antitrypsiini) koskevan myyntilupahakemuksen peruuttaminen

Kamada BioPharma Limited ilmoitti 21. kesäkuuta 2017 virallisesti lääkevalmistekomitealle (CHMP) haluavansa peruuttaa alfa-1-antitrypsiinin synnynnäisestä puutoksesta johtuvasta keuhkosairaudesta kärsivien aikuisten hoitoon tarkoitettua Infinia-lääkevalmistetta koskevan myyntilupahakemuksensa.

Mitä Infinia on?

Infinia on lääke, joka sisältää vaikuttavana aineena alfa-1-antitrypsiiniä (tunnetaan myös nimellä alfa₁-proteiinaasin estäjä). Sen oli tarkoitus olla saatavana hengitettävänä liuksena.

Mihin Infiniaa oli tarkoitus käyttää?

Lääkettä oli tarkoitus käyttää alfa-1-antitrypsiinin synnynnäisestä puutoksesta johtuvasta keuhkosairaudesta kärsivien aikuisten hoitoon. Tämän ensyymien puutos voi aiheuttaa keuhkoihin vaurioita (kuten laajentuman tai keuhkoputkien ahtaumaa), jotka johtavat hengitysvaikeuksiin.

Infinia määriteltiin synnynnäisen alfa-1-trypsiinin puutoksen aiheuttaman laajentuman hoitoon tarkoitetuksi harvinaislääkkeeksi (harvinaisen sairauden hoitoon tarkoitettu lääke) 16. marraskuuta 2004. Lisätietoja harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on [tässä](#).

EU:ssa on myös muita saman sairauden hoitoon tarkoitettuja alfa-1-antitrypsiiniä sisältäviä lääkkeitä, mutta ne annetaan infuusiona (tiputuksena) suoneen.

Miten Infinia vaikuttaa?

Infinian vaikuttava aine, alfa-1-antitrypsiini, on veren proteiini, joka suojaa keuhkokudosta vaurioitumiselta. Sitä saadaan ihmisen verestä, ja sillä oli tarkoitus korvata alfa-1-antitrypsiinin puutoksesta kärsivien ihmisten keuhkoista puuttuva proteiini.



Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?

Yhtiö esitti tulokset päätutkimuksesta, jossa oli mukana 168 potilasta ja jossa tutkittiin tämän lääkkeen vaikutuksia sairauden pahenemisvaiheisiin. Lääkettä verrattiin lumelääkkeeseen, ja tehon pääasiallinen mitta oli sen ajan pituus, jonka potilaat saivat viettää ilman sairauden pahenemista.

Miten pitkällä hakemuksen arviointi oli, kun se peruutettiin?

Hakemus peruutettiin sen jälkeen, kun lääkevalmistekomitea oli arvioinut yhtiön toimittamat asiakirjat ja laatinut luettelon kysymyksistä. Kun lääkevalmistekomitea oli arvioinut yhtiön viimeisiin kysymyksiin antamat vastaukset, joitakin seikkoja oli vielä selvittämättä.

Mikä oli lääkevalmistekomitean suositus tuolloin?

Lääkevalmistekomitea suhtautui saamiensa tietojen tarkastelun perusteella varauksellisesti joihinkin seikkoihin hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, ja sen alustava kanta oli, että Infiniaa ei olisi voitu hyväksyä aikuisten alfa-1-antitrypsiinin synnynnäisestä puutoksesta johtuvan keuhkosairauden hoitoon.

Komitea katsoi, ettei tutkimus ollut onnistunut osoittamaan suotuisia vaikutuksia tutkitussa potilasryhmässä. Lisäksi komitealla oli jotakin huolenaiheita lääkkeen siedettävyydestä ja turvallisuusprofiilista, koska Infiniaa käyttäneiden potilaiden oli täytynyt lopettaa hoito sivuvaikutusten takia useammin kuin lumelääkettä saaneiden potilaiden. Huolenaiheita oli myös siitä, että Infiniaa käyttävät potilaat saattavat tuottaa sille vasta-aineita, jolloin sen vaikutukset vähenevät tai potilaat tulevat alttiimmiksi allergisille reaktioille.

Siksi lääkevalmistekomitea katsoi hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, ettei Infiniasta saatava hyöty ole sen riskenä suurempi.

Mistä syistä yhtiö peruutti hakemuksen?

Kirjeessään, jossa yhtiö ilmoittaa virastolle hakemuksen peruuttamisesta, se toteaa tarvitsevansa lisää aikaa hankkia tietoja, joita lääkevalmistekomitea pyysi tämän hakemuksen osalta.

Peruuttamista koskeva kirje on [tässä](#).

Mitä seurauksia tämän hakemuksen peruuttamisesta on kliinisiin tutkimuksiin tai erityiskäyttöohjelmiin osallistuvilla potilaille?

Yhtiö ilmoitti lääkevalmistekomitealle, että peruuttamisesta ei ole mitään seurauksia potilaille, jotka osallistuvat Infiniaa koskeviin kliinisiin tutkimuksiin tai erityiskäyttöohjelmiin.

Jos olet mukana kliinisessä tutkimuksessa tai erityiskäyttöohjelmassa ja tarvitset lisätietoa hoidostasi, ota yhteyttä hoitavaan lääkäriin.