



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Questions et réponses

Retrait de la demande d'autorisation de mise sur le marché pour Infinia (alpha-1 antitrypsine)

Le 21 juin 2017, Kamada BioPharma Limited a officiellement notifié au comité des médicaments à usage humain (CHMP) son souhait de retirer sa demande d'autorisation de mise sur le marché pour Infinia, destiné au traitement de la maladie pulmonaire causée par un déficit congénital en alpha-1 antitrypsine chez l'adulte.

Qu'est-ce qu'Infinia?

Infinia est un médicament contenant le principe actif alpha-1 antitrypsine (aussi appelé inhibiteur de l'alpha₁protéinase). Il devait être disponible sous la forme d'une solution à inhaler.

Dans quel cas Infinia devait-il être utilisé?

Le médicament devait être utilisé dans le traitement de la maladie pulmonaire chez des adultes présentant un déficit congénital (inné) en alpha-1 antitrypsine. Un déficit en enzyme alpha-1 antitrypsine peut endommager les poumons (risque d'emphysème et d'obstruction des voies respiratoires, par exemple) et ainsi entraîner des problèmes respiratoires.

Infinia a été désigné comme étant un «médicament orphelin» (médicament utilisé pour des maladies rares), le 16 novembre 2004 pour le traitement de l'emphysème causé par un déficit congénital en alpha-1 antitrypsine. Des informations complémentaires sur la désignation de médicament orphelin sont disponibles [ici](#).

D'autres médicaments contenant de l'alpha-1 antitrypsine sont autorisés au sein de l'UE pour la même maladie, mais sont administrés sous la forme d'une perfusion (goutte-à-goutte) intraveineuse.



Comment Infinia agit-il?

Le principe actif d'Infinia, l'alpha-1 antitrypsine, est une protéine présente dans le sang qui protège le tissu pulmonaire des lésions. Il est obtenu à partir de sang humain et devait agir en remplaçant la protéine qui manque aux poumons chez les patients présentant un déficit en alpha-1 antitrypsine.

Quelle a été la documentation présentée par la société pour justifier sa demande?

La société a présenté les résultats d'une étude principale menée auprès de 168 patients sur les effets du médicament sur les exacerbations (soudaine aggravation des symptômes) de la maladie. Le médicament a été comparé à un placebo (un traitement fictif) et le principal critère d'évaluation de l'efficacité était le temps écoulé avant que les patients présentent une exacerbation.

À quel stade en était l'évaluation lors du retrait de la demande?

La demande a été retirée après que le CHMP eut évalué la documentation présentée par la société et établi des listes de questions. Après l'évaluation par le CHMP des réponses apportées par la société à la dernière série de questions, certains sujets demeuraient en suspens.

Quelle était la recommandation du CHMP à ce stade?

Sur la base de l'examen des données, au moment du retrait, le CHMP avait des réserves et estimait à ce stade qu'Infinia n'aurait pas pu être approuvé pour le traitement de la maladie pulmonaire causée par un déficit congénital en alpha-1 antitrypsine chez l'adulte.

Le comité a estimé que l'étude n'avait pas été en mesure de démontrer les effets bénéfiques du médicament chez la population ayant fait l'objet de l'étude. En outre, il a exprimé des réserves quant au profil de sécurité et de tolérance du médicament, étant donné que les patients auxquels Infinia était administré ont été contraints d'arrêter le traitement en raison d'effets indésirables plus souvent que les patients sous placebo. Il a également émis des réserves sur le fait que les patients traités par Infinia pouvaient produire des anticorps contre ce dernier, lesquels pouvaient réduire ses effets ou augmenter le risque de réactions allergiques chez les patients.

Par conséquent, au moment du retrait de la demande, l'avis du CHMP était que les bénéfices d'Infinia n'étaient pas supérieurs à ses risques.

Quels ont été les motifs invoqués par la société pour le retrait de la demande?

Dans sa lettre notifiant à l'Agence le retrait de la demande, la société a indiqué qu'elle avait besoin de davantage de temps pour collecter les informations supplémentaires requises par le CHMP dans le cadre de sa demande d'autorisation.

La lettre de retrait est disponible [ici](#).

Quelles sont les conséquences du retrait pour les patients participant aux essais cliniques ou bénéficiant de programmes d'utilisation compassionnelle?

La société a informé le CHMP qu'il n'y a aucune conséquence pour les patients actuellement inclus dans des essais cliniques ou des programmes d'utilisation compassionnelle utilisant Infinia.

Si vous participez à un essai clinique ou à un programme d'utilisation compassionnelle et si vous souhaitez obtenir des informations complémentaires sur votre traitement, contactez le médecin qui vous a prescrit le traitement.