



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Kérdések és válaszok

Az Infinia-ra (alfa-1-antitripszin) vonatkozó forgalomba hozatali engedély iránti kérelem visszavonása

2017. június 21-én a Kamada BioPharma Limited hivatalosan értesítette az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottságát (CHMP), hogy vissza kívánja vonni a veleszületett alfa-1-antitripszin hiány miatt kialakult tüdőbetegségben szenvedő felnőttek kezelésére szánt Infinia-ra vonatkozó forgalomba hozatali engedély iránti kérelmét.

Mi az Infinia?

Az Infinia egy gyógyszer, mely aktív hatóanyagként alfa-1-antitripszint (alfa₁-proteináz inhibitorként is ismert) tartalmaz. Inhalációs oldatként kívánták forgalomba hozni.

Milyen alkalmazásra szánták az Infinia-t?

A gyógyszert a veleszületett (congenitalis) alfa-1-antitripszin hiány miatt tüdőbetegségben szenvedő felnőttek kezelésére szánták. Az enzim hiánya légzési nehézséghez vezető tüdőkárosodást okozhat (mint például a tüdőtágulat és légúti elzáródás).

Az Infinia-t 2004. november 16-án az veleszületett alfa-1-antitripszin hiány miatt kialakult tüdőtágulat kezelése tekintetében „ritka betegségek elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették. A ritka betegség elleni gyógyszerre minősítésről további információ [itt](#) található.

Más, alfa-1-antitripszin tartalmú gyógyszerek alkalmazása engedélyezett az EU-ban ugyanezen betegség kezelésére, azonban ezek beadása intravénás infúzió (cseppek) formájában történik.



Hogyan fejt ki hatását az Infinia?

Az Infinia hatóanyaga, az alfa-1-antitripszin, egy vérben keringő fehérje, amely a tüdőszövetet védi a károsodástól. Emberi vérből állítják elő és célja az alfa-1-antitripszin hiányban szenvedő betegek tüdejében a hiányzó fehérje pótlása.

Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a kérelem alátámasztására?

A vállalat egy 168 beteg részvételével végzett fő vizsgálat eredményeit mutatta be, amely vizsgálatban a gyógyszernek a betegség fellángolására (a tünetek hirtelen súlyosbodása) kifejtett hatását tanulmányozták. A gyógyszert placebóval (egy hamis kezelés) hasonlították össze és a hatékonyság fő mérője, az az időtartam volt, melyet a betegek fellángolás nélkül töltek el.

A visszavonás előtt meddig jutott el a kérelem az elbírálási folyamatban?

A kérelmet azt követően vonták vissza, hogy a CHMP már értékelte a vállalat által benyújtott dokumentációt, és kidolgozta a kérdéslisztákat. Miután a CHMP értékelte a vállalatnak az utolsó kérdéssorra adott válaszait, még mindig maradt néhány megoldatlan probléma.

Mit tartalmazott a CHMP ajánlása az adott időpontban?

A visszavonás időpontjában az adatok értékelése alapján a CHMP részéről néhány aggály merült fel, és az volt az ideiglenes véleménye, hogy az Infinia alkalmazása a veleszületett alfa-1-antitripszin hiánnyal járó tüdőbetegségben nem engedélyezhető a felnőtt betegek kezelésére.

A bizottság úgy vélte, hogy a vizsgálat nem igazolta az előnyös hatásokat a vizsgált populációban. Továbbá, aggályokat vetett fel a gyógyszer tolerálhatósági és biztonságossági profilja, hiszen az Infinia-t szedő betegek esetében gyakrabban kellett mellékhatások miatt felfüggeszteni a kezelést, mint a placebót alkalmazó betegeknél. Szintén aggodalomra adott okot, hogy az Infinia-t szedő betegeknél előfordult a gyógyszer elleni antitest termelés, melyek csökkenthetik a hatását vagy allergiás reakcióra hajlamosabbá tehetik a beteget.

Ezért a visszavonás időpontjában a CHMP meglátása szerint a Infinia előnyei nem haladták meg a kockázatokat.

Mivel indokolta a vállalat a kérelem visszavonását?

Az Ügynökséget a kérelem visszavonásáról értesítő levelében a vállalat úgy nyilatkozott, hogy nem tudná benyújtani a gyógyszer alkalmazásával kapcsolatban, a CHMP által bekért további adatokat a meghatározott határidőn belül.

A visszavonásról szóló levél [itt](#) olvasható.

Milyen következményekkel jár a visszavonás azokra a betegekre nézve, akik részt vettek a klinikai vizsgálatokban vagy engedélyezés előtti kezelési programokban?

A vállalat tájékoztatta a CHMP-t, hogy nincs következmény az Infinia-val végzett klinikai vizsgálatokban vagy engedélyezés előtti kezelési programokban jelenleg részt vevő betegekre nézve.

Ha Ön ilyen klinikai vizsgálatban vagy engedélyezés előtti kezelési programban vesz részt, és kezelését illetően további információra van szüksége, vegye fel a kapcsolatot kezelőorvosával.