



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2017 m. liepos 21 d.
EMA/440995/2017
EMA/H/C/003934

Klausimai ir atsakymai

Paraiškos gauti Infinia (alfa-1-antitripsino) registracijos pažymėjimą atsiėmimas

2017 m. birželio 21 d. bendrovė „Kamada BioPharma Limited“ oficialiai pranešė Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komitetui (CHMP) apie savo pageidavimą atsiimti paraišką gauti vaisto Infinia, skirto plaučių liga dėl įgimto alfa-1-antitripsino trūkumo sergantiems suaugusiesiems, registracijos pažymėjimą.

Kas yra Infinia?

Infinia – tai vaistas, kurio sudėtyje yra veikliosios medžiagos alfa-1-antitripsino (dar žinomo kaip alfa₁-proteinizės inhibitoriaus). Jį buvo numatyta tiekti įkvepiamojo tirpalo forma.

Kokiais atvejais buvo numatyta vartoti Infinia?

Vaistą buvo numatyta vartoti gydant suaugusiuosius, sergančius plaučių liga dėl įgimto alfa-1-antitripsino trūkumo. Šio fermento trūkumas gali pakenkti plaučiams (pvz., sukelti emfizemą ir blokuoti kvėpavimo takus), o tai gali sukelti kvėpavimo problemų.

2004 m. lapkričio 16 d. Infinia priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai pagal emfizemos dėl įgimto alfa-1-antitripsino trūkumo gydymo indikaciją. Daugiau informacijos apie vaistų priskyrimą retųjų vaistų kategorijai rasite [čia](#).

Tai pačiai ligai gydyti ES yra registruotų kitų vaistų, kurių sudėtyje yra alfa-1-antitripsino, tačiau jie švirkščiami (lašunami) į veną.



Kaip veikia Infinia?

Infinia veikioji medžiaga alfa-1-antitripsinas yra kraujo baltymas, saugantis plaučių audinį nuo pažeidimo. Jis gaunamas iš žmogaus kraujo ir yra skirtas pakeisti trūkstamą baltymą plaučiuose pacientams, kuriems pasireiškia alfa-1-antitripsino nepakankamumas.

Kokius dokumentus bendrovė pateikė kartu su paraiška?

Bendrovė pateikė pagrindinio tyrimo, kuriame dalyvavo 168 pacientai, rezultatus ir kuriame nagrinėjamas vaisto poveikis paūmėjus ligai (staiga pablogėjus simptomams). Vaistas buvo lyginamas su placebo (preparatu be veikliosios medžiagos) ir pagrindinis veiksmingumo rodiklis buvo laikas, kaip ilgai pacientai nejausdavo pablogėjimo.

Kuriuo paraiškos nagrinėjimo etapu paraiška atsiimta?

Paraiška atsiimta, kai CHMP jau buvo įvertinęs bendrovės pateiktus dokumentus ir parengęs klausimų sąrašus. CHMP įvertinus bendrovės atsakymus į paskutinį kartą pateiktus klausimus, vis dar buvo likę neišspręstų klausimų.

Kokia tuo metu buvo CHMP rekomendacija?

Remdamasis peržiūretais duomenimis, paraiškos atsiėmimo metu CHMP dar turėjo abejonių ir buvo priėmęs negalutinę nuomonę, kad Infinia negali būti registruotas suaugusiųjų plaučių ligos dėl įgimto alfa-1-antitripsino trūkumo gydymui.

Komiteto nuomone, tyrime neįrodytas naudingas poveikis tirtoje populiacijoje. Be to, buvo abejonių dėl vaisto toleravimo ir saugumo charakteristikų, nes Infinia vartojantys pacientai nutraukė gydymą dėl pasireiškusių dažnesnio, negu tiems, kurie gavo placebo, šalutinio poveikio. Dar kėlė susirūpinimą tai, kad Infinia vartojantiems pacientams gali gamintis antikūnai, o tai gali susilpninti jo poveikį arba pacientai gali tapti labiau linkę į alergines reakcijas.

Todėl paraiškos atsiėmimo metu CHMP laikėsi nuomonės, kad Infinia teikiama nauda nėra didesnė už jo keliamą riziką.

Kokias paraiškos atsiėmimo priežastis nurodė bendrovė?

Laiške, kuriuo agentūrai pranešta apie paraiškos atsiėmimą, bendrovė nurodė, kad jai reikia daugiau laiko surinkti papildomiems duomenims, kurių reikalauja CHMP.

Laišką dėl paraiškos atsiėmimo galima rasti [čia](#).

Kokių pasekmių paraiškos atsiėmimas turės pacientams, dalyvaujantiems klinikiniuose tyrimuose arba labdaringo vartojimo programose?

Bendrovė pranešė CHMP, kad paraiškos atsiėmimas neturės jokių pasekmių pacientams, šiuo metu dalyvaujantiems Infinia klinikiniuose tyrimuose arba labdaringo vartojimo programose.

Jeigu dalyvaujate klinikiniame tyrime arba labdaringo vartojimo programoje ir pageidaujate gauti daugiau informacijos apie Jums taikomą gydymą, kreipkitės į Jus gydantį gydytoją.