



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

21 lipca 2017 r.  
EMA/440995/2017  
EMA/H/C/003934

## Pytania i odpowiedzi

---

# Wycofanie wniosku o dopuszczenie do obrotu dotyczącego produktu Infinia (alfa-1-antytrypsyna)

W dniu 21 czerwca 2017 r. firma Kamada BioPharma Limited oficjalnie powiadomiła Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) o zamiarze wycofania wniosku o dopuszczenie do obrotu produktu Infinia, który miał być stosowany w leczeniu dorosłych z chorobą płuc spowodowaną przez niedobór alfa-1-antytrypsyny.

## Co to jest Infinia?

Infinia to lek zawierający substancję czynną alfa-1-antytrypsyna (zwaną również inhibitorem proteiny alfa<sub>1</sub>). Miał być dostępny jako roztwór do inhalacji.

## W jakim celu miał być stosowany produkt Infinia?

Lek miał być stosowany w leczeniu choroby płuc u dorosłych z wrodzonym niedoborem alfa-1-antytrypsyny. Brak tego enzymu może spowodować uszkodzenie płuc (w postaci rozedmy i obturacji dróg oddechowych), co prowadzi do zaburzeń oddychania.

W dniu 16 listopada 2004 r. lek Infinia uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach) w leczeniu rozedmy spowodowanej przez wrodzony niedobór alfa-1-antytrypsyny. Więcej informacji na temat uznania za lek sierocy można znaleźć [tutaj](#).

Inne leki zawierające alfa-1-antytrypsynę są dopuszczone do obrotu w UE do stosowania w tej samej chorobie, jednak podaje się je dożylnie w postaci wlewu (za pomocą kroplówki).



## **Jak działa produkt Infinia?**

Substancja czynna produktu Infinia, alfa-1-antytrypsyna, to białko we krwi, które chroni tkanki płuca przed uszkodzeniem. Uzyskuje się ją z ludzkiej krwi i miała zastępować brakujące białko w płucach pacjentów z niedoborem alfa-1-antytrypsyny.

## **Jaką dokumentację przedstawiła firma na poparcie wniosku?**

Firma przedstawiła wyniki badania głównego z udziałem 168 pacjentów, oceniającego wpływ tego leku na zaostrzenia (nagle pogorszenie objawów) choroby. Lek porównywano z placebo (pozorowanym leczeniem) i główną miarą jego skuteczności był czas, jaki pacjenci przeżywali bez zaostrzenia choroby.

## **Na jakim etapie znajdowała się ocena w momencie wycofania wniosku?**

Wniosek wycofano po przeprowadzeniu przez CHMP oceny dokumentacji przedłożonej przez firmę i sformułowaniu list pytań. Po tym, jak CHMP ocenił odpowiedzi firmy na ostatnią serię pytań, kilka kwestii pozostało nierozwiązanych.

## **Jakie zalecenia wydał wówczas CHMP?**

W momencie wycofania wniosku CHMP zgłosił pewne zastrzeżenia na podstawie przeglądu danych i wstępna opinia wskazywała, że produkt Infinia nie może być zatwierdzony w leczeniu dorosłych z chorobą płuc spowodowaną przez wrodzony niedobór alfa-1-antytrypsyny.

Komitet uznał, że badanie nie wykazało korzystnego działania leku w badanej populacji. Dodatkowo istniały obawy o profil tolerancji i bezpieczeństwa leku, ponieważ pacjenci przyjmujący lek Infinia musieli przerwać leczenie z powodu działań niepożądanych częściej niż pacjenci przyjmujący placebo. Istniały również obawy, że pacjenci przyjmujący lek Infinia mogą wytwarzać skierowane przeciw niemu przeciwciała, co może osłabić jego działanie lub zwiększyć podatność pacjentów na reakcje alergiczne.

Dlatego też w momencie wycofania wniosku zdaniem CHMP korzyści ze stosowania produktu Infinia nie przewyższały ryzyka.

## **Jakie przyczyny wycofania wniosku podała firma?**

W swoim piśmie powiadamiającym Agencję o wycofaniu wniosku firma oświadczyła, że potrzebuje więcej czasu na zebranie dodatkowych informacji, o które poprosił CHMP w związku z tym wnioskiem.

Pismo powiadamiające o wycofaniu wniosku jest dostępne [tutaj](#).

## **Jakie są skutki wycofania dla pacjentów uczestniczących w badaniach klinicznych lub programach „leczenia ostatniej szansy”?**

Firma powiadomiła CHMP, że nie ma żadnych skutków dla pacjentów obecnie biorących udział w badaniach klinicznych lub programach leczenia ostatniej szansy z użyciem produktu Infinia.

W przypadku uczestnictwa w badaniach klinicznych lub programie leczenia ostatniej szansy i potrzeby uzyskania dokładniejszych informacji o leczeniu, należy skontaktować się z lekarzem prowadzącym.