



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Întrebări și răspunsuri

Retragerea cererii de autorizare de punere pe piață pentru Infinia (alfa-1 antitripsină)

La data de 21 iunie 2017, Kamada BioPharma Limited a informat oficial Comitetul pentru medicamente de uz uman (CHMP) că dorește să-și retragă cererea de autorizare de punere pe piață pentru Infinia, pentru tratamentul adulților care suferă de boală pulmonară cauzată de deficitul congenital de alfa-1 antitripsină.

Ce este Infinia?

Infinia este un medicament care conține substanța activă alfa-1 antitripsină (numită și inhibitor al alfa₁ proteinazei). Medicamentul urma să fie disponibil sub formă de soluție pentru inhalare.

Pentru ce ar fi trebuit să se utilizeze Infinia?

Medicamentul ar fi trebuit să se utilizeze pentru tratarea bolii pulmonare la adulții cu deficit congenital (ereditar) de alfa-1 antitripsină. Lipsa acestei enzime poate cauza vătămarea plămânilor (cum ar fi emfizemul și obstrucția căilor respiratorii), ceea ce conduce la probleme de respirație.

Infinia a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament folosit în bolile rare) la data de 16 noiembrie 2004, pentru tratarea emfizemului cauzat de deficitul congenital de alfa-1 antitripsină. Informații suplimentare privind desemnarea ca medicament orfan sunt disponibile [aici](#).

Există și alte medicamente care conțin alfa-1 antitripsină și care sunt autorizate în UE pentru aceeași boală, dar care se administrează sub formă de perfuzie (picurare) în venă.



Cum acționează Infinia?

Substanța activă din Infinia, alfa-1 antitripsina, este o proteină care se găsește în sânge și care protejează țesutul pulmonar împotriva leziunilor. Aceasta se obține din sânge uman și urma să înlocuiască proteina lipsă de la nivelul plămânilor la pacienții cu deficit de alfa-1 antitripsină.

Ce documentație a prezentat compania în sprijinul cererii sale?

Compania a prezentat rezultatele unui studiu principal la 168 de pacienți, care a urmărit efectele acestui medicament asupra episoadelor de exacerbare (acutizarea bruscă a simptomelor) ale bolii. Medicamentul a fost comparat cu placebo (un preparat inactiv) iar principalul indicator al eficacității a fost perioada de timp care a trecut fără ca pacienții să aibă un episod de exacerbare.

În ce stadiu se afla evaluarea în momentul retragerii cererii?

Cererea a fost retrasă după ce CHMP evaluase documentația inițială prezentată de companie și formulase o listă de întrebări. După evaluarea de către CHMP a răspunsurilor companiei la ultima rundă de întrebări, existau încă unele probleme nerezolvate.

Care a fost recomandarea CHMP în momentul respectiv?

Pe baza analizării datelor, în momentul retragerii cererii, CHMP avea unele motive de îngrijorare și a dat un aviz provizoriu, potrivit căruia Infinia nu putea fi aprobat pentru tratamentul adulților cu boală pulmonară cauzată de deficitul congenital de alfa-1 antitripsină.

Comitetul a considerat că studiul nu a reușit să demonstreze efecte benefice la pacienții supuși studiului. În plus, au existat motive de îngrijorare cu privire la tolerabilitatea și la profilul de siguranță al medicamentului, având în vedere că pacienții care au luat Infinia au fost nevoiți să oprească tratamentul din cauza reacțiilor adverse mai des decât pacienții care au luat placebo. De asemenea, au fost exprimate motive de îngrijorare cu privire la faptul că pacienții care iau Infinia ar putea produce anticorpi împotriva medicamentului, ceea ce ar putea să reducă efectele acestuia, sau să-i predisună mai mult pe pacienți la reacții alergice.

Prin urmare, la momentul retragerii cererii, în opinia CHMP beneficiile Infinia nu depășeau riscurile asociate.

Care au fost motivele invocate de companie pentru retragerea cererii?

În scrisoarea prin care înștiințează agenția cu privire la retragerea cererii, compania a declarat că are nevoie de mai mult timp pentru a aduna informații suplimentare, conform solicitărilor CHMP legate de această cerere.

Scrisoarea de înștiințare cu privire la retragerea cererii este disponibilă [aici](#).

Care sunt consecințele retragerii cererii pentru pacienții din studii clinice sau din programe de uz compasional?

Compania a informat CHMP că nu există consecințe pentru pacienții aflați în prezent în studii clinice sau în programe de uz compasional cu Infinia.

Dacă participați la un studiu clinic sau la un program de uz compasional și aveți nevoie de informații suplimentare despre tratamentul dumneavoastră, adresați-vă medicului care vă administrează acest medicament.