



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Otázky a odpovede

Stiahnutie žiadosti o povolenie na uvedenie na trh pre liek Infinia (alfa-1-antitrypsín)

Dňa 21. júna 2017 spoločnosť Kamada BioPharma Limited oficiálne oznámila Výboru pre lieky na humánne použitie (CHMP) rozhodnutie stiahnuť svoju žiadosť o povolenie na uvedenie na trh pre liek Infinia, ktorý je určený na liečbu dospelých s ochorením pľúc zapríčineným vrodeným nedostatkom alfa-1-antitrypsínu.

Čo je Infinia?

Liek Infinia obsahuje účinnú látku alfa-1-antitrypsín (známy tiež ako inhibítor alfa₁-proteinázy). Liek mal byť dostupný vo forme inhalačného roztoku.

Aké bolo predpokladané použitie lieku Infinia?

Liek sa mal používať na liečbu ochorenia pľúc u dospelých s kongenitálnym (vrodeným) nedostatkom alfa-1-antitrypsínu. Nedostatok tohto enzýmu môže spôsobiť poškodenie pľúc (napríklad emfyzém a obštrukciu dýchacích ciest), čo vedie k problémom s dýchaním.

Liek Infinia bol 16. novembra 2004 označený ako liek na ojedinelé ochorenia na liečbu emfyzému zapríčineného kongenitálnym nedostatkom alfa-1-antitrypsínu. Viac informácií o označovaní liekov ako lieky na ojedinelé ochorenia sa nachádza [tu](#).

V EÚ sú na rovnaké ochorenie povolené ďalšie lieky obsahujúce alfa-1-antitrypsín, ale podávajú sa vo forme infúzie (kvapkania) do žily.



Akým spôsobom liek Infinia účinkuje?

Účinná látka lieku Infinia, alfa-1-antitrypsín, je proteín v krvi, ktorý chráni pľúcne tkanivo pred poškodením. Získava sa z ľudskej krvi a bol určený ako náhrada za chýbajúci proteín v pľúcach pacientov s nedostatkom alfa-1-antitrypsínu.

Akou dokumentáciou podložila spoločnosť svoju žiadosť?

Spoločnosť predložila výsledky hlavnej štúdie u 168 pacientov, v ktorej sa skúmali účinky lieku na exacerbácie (náhle zhoršenie príznakov) ochorenia. Liek sa porovnával s placebom (zdanlivým liekom) a hlavným meradlom účinnosti bol čas, počas ktorého sa u pacientov nevyskytla exacerbácia ochorenia.

V akej fáze hodnotenia bola žiadosť v čase stiahnutia?

Žiadosť bola stiahnutá po vyhodnotení dokumentácie, ktorú spoločnosť predložila, výborom CHMP, ktorý sformuloval zoznamy otázok. Po preskúmaní odpovedí spoločnosti na poslednú sériu otázok výborom CHMP ešte stále ostali niektoré otázky nevyriešené.

Aké bolo v tom čase odporúčanie výboru CHMP?

Na základe preskúmania údajov mal výbor CHMP v čase stiahnutia žiadosti určité výhrady a dospel k predbežnému stanovisku, že liek Infinia nemôže byť povolený na liečbu dospelých s ochorením pľúc zapríčineným kongenitálnym nedostatkom alfa-1-antitrypsínu.

Výbor usúdil, že v štúdiu sa nepreukázali prínosy v skúmanej populácii. Okrem toho vznikli výhrady v súvislosti so znášanlivosťou a bezpečnostným profilom lieku, pretože pacienti, ktorí užívali liek Infinia, museli s liečbou prestať pre vedľajšie účinky častejšie ako pacienti užívajúcí placebo. Vznikli tiež výhrady, že u pacientov užívajúcich liek Infinia sa môžu vytvoriť protilátky proti lieku, čo by mohlo znížiť účinky lieku, alebo pacienti by mohli byť náchylnejší na alergické reakcie.

Výbor CHMP preto v čase stiahnutia žiadosti zastával názor, že prínosy lieku Infinia neprevyšujú jeho riziká.

Aké dôvody na stiahnutie žiadosti uviedla spoločnosť?

Vo svojom liste oznamujúcom agentúre stiahnutie žiadosti spoločnosť uviedla, že potrebuje viac času na zhromaždenie ďalších informácií, ktoré výbor CHMP vyžaduje v súvislosti s touto žiadosťou.

List spoločnosti oznamujúci agentúre stiahnutie žiadosti sa nachádza [tu](#).

Aké sú dôsledky stiahnutia žiadosti pre pacientov, ktorí sa zúčastňujú na klinických skúškaniach alebo na programoch na použitie lieku v naliehavých prípadoch?

Spoločnosť informovala výbor CHMP, že pre pacientov, ktorí sa v súčasnosti zúčastňujú na klinických skúškaniach alebo na programoch na použitie lieku Infinia v naliehavých prípadoch, nevyplývajú žiadne dôsledky.

Ak sa zúčastňujete na klinickom skúšaní alebo na programe na použitie lieku v naliehavých prípadoch a potrebujete viac informácií o svojej liečbe, obráťte sa na svojho ošetrojúceho lekára.