



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

Den 21 juli 2017
EMA/440995/2017
EMA/H/C/003934

Frågor och svar

Återkallande av ansökan om godkännande för försäljning av Infinia (alfa-1-antitrypsin)

Den 21 juni 2017 underrättade Kamada BioPharma Limited officiellt Europeiska läkemedelsmyndighetens kommitté för humanläkemedel (CHMP) om att de önskar återkalla sin ansökan om godkännande för försäljning för Infinia, som var avsett för behandling av vuxna med lungsjukdom orsakad av kongenital brist på alfa-1-antitrypsin.

Vad är Infinia?

Infinia är ett läkemedel som innehåller den aktiva substansen alfa-1-antitrypsin (kallas även alfa₁-proteinashämmare). Det skulle finnas som inhalationsvätska, lösning.

Vad skulle Infinia användas för?

Läkemedlet skulle användas för behandling av lungsjukdom hos vuxna med kongenital (medfödd) brist på alfa-1-antitrypsin. En brist på detta enzym kan skada lungorna (och t.ex. orsaka emfysem och luftvägsobstruktion) vilket leder till andningsproblem.

Infinia klassificerades den 16 november 2004 som ett sär läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) avsett att användas vid behandling av emfysem till följd av kongenital brist på alfa-1-antitrypsin. Mer information om klassificeringen som sär läkemedel finns [här](#).

Andra läkemedel som innehåller alfa-1-antitrypsin är godkända i EU för samma sjukdom men ges som infusion (dropp) i en ven.



Hur verkar Infinia?

Den aktiva substansen i Infinia, alfa1-antitrypsin, är ett protein i blodet som skyddar lungvävnaden mot skador. Det erhålls från mänskligt blod och skulle ersätta det saknade proteinet i lungorna hos patienter med brist på alfa-1-antitrypsin.

Vad har företaget lämnat in som stöd för sin ansökan?

Företaget lämnade in resultaten av en huvudstudie på 168 patienter som undersökte läkemedlets effekter på exacerbationer (plötsligt försämrade symtom) av sjukdomen. Läkemedlet jämfördes med placebo (en överksam behandling) och huvudeffektmaßttet var den tidslängd som patienterna inte hade en exacerbation.

Hur långt hade utvärderingen kommit när ansökan drogs tillbaka?

Ansökan drogs tillbaka efter att CHMP hade utvärderat dokumentationen från företaget och sammanställt en frågelista. Vissa frågetecken kvarstod när CHMP hade utvärderat företagets svar på den sista omgången frågor.

Vad rekommenderade CHMP vid den tidpunkten?

Efter genomgång av de inlämnade uppgifterna hyste CHMP vid tidpunkten för återkallandet vissa betänkligheter och ansåg preliminärt att Infinia inte skulle ha kunnat godkännas för behandling av vuxna med lungsjukdom orsakad av kongenital brist på alfa-1-antitrypsin.

Kommittén fann att studien inte kunde visa fördelaktiga effekter i den studerade populationen. Dessutom fanns det farhågor över läkemedlets tolerabilitet och säkerhetsprofil, eftersom patienter som tog Infinia var tvungna att oftare avbryta behandlingen på grund av biverkningar än patienter som tog placebo. Det fanns även farhågor över att patienter som tar Infinia kan producera antikroppar mot läkemedlet som kan minska dess effekter eller göra patienterna mer benägna att få allergiska reaktioner.

Vid tidpunkten för återkallandet ansåg därför CHMP att nyttan med Infinia inte övervägde riskerna.

Vilka skäl angav företaget till att dra tillbaka sin ansökan?

I skrivelsen till myndigheten om att ansökan återkallas uppgav företaget att de behövde mer tid för att samla in ytterligare information som CHMP begärde i samband med denna ansökan.

Företagets skrivelse om återkallande av ansökan finns [här](#).

Vilka följder får återkallandet för patienter som deltar i kliniska prövningar eller s.k. compassionate use-program?

Företaget informerade CHMP om att beslutet inte får några följder för patienter som för närvarande deltar i kliniska prövningar eller s.k. compassionate use-program med Infinia.

Om du deltar i en klinisk prövning eller ett s.k. compassionate use-program och behöver mer information om din behandling kan du kontakta den läkare som ger dig läkemedlet.