

27. juuni 2013
EMA/442975/20133
EMA/H/C/002349

Teabedokument

Müügiloa taotluse tagasivõtmise teave: IXinity (trenonakog alfa)

Cangene Europe Ltd. teatas 13. juunil 2013 ametlikult inimravimite komiteele oma soovist võtta tagasi ravimi IXinity müügiloa taotlus. Ravim oli näidustatud verejooksu raviks ja ennetamiseks B-hemofiiliaga patsientidel.

Mis on IXinity?

IXinity on ravim, mis sisaldab toimeainena trenonakog alfat (rekombinantne inimese hüübimisfaktor IX). Ravimit plaaniti turustada süstelahuse pulbri ja lahustina (500, 1000 ja 1500 ühikut).

Milleks kavatseti IXinityt kasutada?

IXinityt kavatseti kasutada verejooksuepisoodide ärahoidmiseks ja raviks vähemalt 12-aastastel B-hemofiiliaga (pärilik veritsushaigus, mille põhjus on hüübimisfaktori IX puudus) patsientidel.

Milline on IXinity eeldatav toime?

B-hemofiiliaga patsientidel ei ole veres piisaval määral hüübimisfaktorit IX – see on valk, mis aitab verel normaalselt hüübida. See põhjustab probleeme vere hüübimisel ja võib kaasa tuua verejooksu liigestesse, lihastesse ja siseorganitesse. IXinity toimeaine trenonakog alfa on inimese hüübimisfaktori IX erivorm, mis asendab veres puuduva hüübimisfaktori IX, aidates sel moel veritsushaigust ajutiselt kontrollida.

IXinity toimeainet toodetakse meetodi abil, mida nimetatakse rekombinant-DNA-tehnoloogiaks: toimeainet toodavad rakud, millesse on viidud geen (DNA), mis muudab need rakud võimeliseks seda hüübimisfaktorit tootma.

Mis dokumendid esitas ettevõtte oma taotluse toetuseks?

Ettevõtte esitas uuringute tulemused, milles oli osalenud 42 mõõduka raskusega kuni raske B-hemofiiliaga patsienti, kellele manustati IXinityt verejooksu raviks või ärahoidmiseks, sealhulgas mõnele patsiendile ka kirurgiliste operatsioonide korral. Efektiivsuse näitaja oli patsientide hinnang sellele, kui hästi ravim verejooksu kontrollis, ja ravimi kasutamise ajal tekkinud verejooksuepisoodide arv.

Mis järgus oli müügiloa taotluse hindamine, kui see tagasi võeti?

Taotlus võeti tagasi pärast seda, kui inimravimite komitee oli hinnanud ettevõtte esitatud dokumente ja koostanud ettevõttele vastamiseks küsimused. Inimravimite komitee oli ettevõttele esitatud viimaste küsimuste vastused läbi vaadanud, kuid mõni küsimus oli veel lahendamata.

Milline oli sel ajal inimravimite komitee soovitus?

Tuginedes esitatud andmete analüüsile ja ettevõtte vastustele inimravimite komitee esitatud küsimustele, nägi komitee taotluse tagasivõtmise ajal põhjust ettevaatlikkuseks ja oli esialgsel seisukohal, et ravimi IXinity kasutamist verejooksuepisoodide ärahoidmiseks ja raviks B-hemofiiliaga patsientidel ei ole võimalik heaks kiita.

Kuigi uuringud olid näidanud, et IXinity on efektiivne, selgus neist samuti, et patsientidel tekkis ootamatult suur antikehade sisaldus IXinityt tootvatest rakkudest pärinevate valkude vastu, mis sisaldasid ka ravimis. Ettevõtte täiustas IXinity tootmisprotsessi, et need valgud ravimist eemaldada, samas ei olnud selge, kas puhastatud ravim toimib samamoodi kui uuringutes kasutatud esialgne ravim, mistõttu soovitas inimravimite komitee täiendava uuringu läbiviimist patsientidel.

Seetõttu oli inimravimite komitee müügiloa taotluse tagasivõtmise ajal arvamusel, et puhastatud ravimi IXinity kasulikkus ei ole olemasolevate andmete alusel suurem kui sellega kaasnevad riskid.

Mis põhjustel võttis ettevõtte taotluse tagasi?

Kirjas, milles ettevõtte teatab Euroopa Ravimiametile oma taotluse tagasivõtmisest, märgib ettevõtte, et otsus taotlus tagasi võtta põhineb asjaolul, et ettevõttele ei ole võimalik antud taotluse menetlemise tähtaegade jooksul esitada täiendavaid andmeid, mis on vajalikud inimravimite komitee tõstatatud küsimustele vastamiseks. Ettevõtte kinnitas, et kavatseb nimetatud andmete saamisel esitada uue müügiloa taotluse.

Tagasivõtmise kiri on [siin](#).

Kuidas mõjutab tagasivõtmine praegu kliinilistes uuringutes või eriloaga kasutamise programmides osalevaid patsiente?

Ettevõtte teavitas inimravimite komiteed, et praegu kliinilistes uuringutes osalevad patsiendid saavad jätkata IXinity kasutamist ja nad lülitatakse ümber puhastatud ravimile pärast seda, kui ümber töötatud uuringuplaanid on heaks kiidetud.

Kui osalete ravimi kliinilises uuringus ja vajate oma ravi kohta lisateavet, pöörduge palun arsti poole, kes teile ravi määras.