

27. kesäkuuta 2013
EMA/442976/2013
EMA/H/C/002349

Kysymyksiä ja vastauksia

Lääkevalmisteen IXinity (trenonakogialfa) myyntilupahakemuksen peruuttaminen

Cangene Europe Ltd. ilmoitti 13. kesäkuuta 2013 virallisesti lääkevalmistekomitealle (CHMP) haluavansa peruuttaa B-hemofiliaa sairastavien potilaiden verenvuodon hoitoon ja ehkäisyyn tarkoitettua IXinity-lääkevalmistetta koskevan myyntilupahakemuksensa.

Mitä IXinity on?

IXinity on lääke, jonka vaikuttava aine on trenonakogialfa (rekombinantti ihmisen hyytymistekijä IX). Sitä oli määrä olla saatavana kuiva-aineena ja liuottimena injektiooliuosta varten (500, 1 000 ja 1 500 yksikköä).

Mihin valmistetta IXinity oli tarkoitus käyttää?

IXinity-valmistetta oli tarkoitus käyttää vähintään 12-vuotiaiden B-hemofiliaa (perinnöllinen verenvuototauti, jonka aiheuttaa IX-hyytymistekijän puutos) sairastavien potilaiden verenvuotoepisodien ehkäisyyn ja hoitoon.

Miten valmisteen IXinity odotettiin vaikuttavan?

B-hemofiliaa sairastavilla potilailla ei ole riittävästi hyytymistekijä IX:ää, joka on veren normaalia hyytymistä edistävä proteiini. Hyytymistekijän vajavuus aiheuttaa ongelmia veren hyytymisessä, mikä johtaa verenvuotoon nivelissä, lihaksissa ja sisäelimeissä. IXinityn vaikuttava aine trenonakogialfa on ihmisen hyytymistekijä IX:n muoto, joka korvaa verestä puuttuvan hyytymistekijä IX:n. Näin verenvuototauti saadaan tilapäisesti hallintaan.

IXinityn vaikuttava aine tuotetaan menetelmällä, jota kutsutaan yhdistelmä-DNA-tekniikaksi: sitä tuottavat solut, joihin on lisätty hyytymistekijän tuottamisen mahdollistava geeni (DNA:ta).

Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?

Yhtiö esitti tulokset tutkimuksista, joihin osallistui 42 keskivaikeaa tai vaikeaa B-hemofiliaa sairastavaa potilasta, jotka saivat IXinity-valmistetta verenvuodon hoitoon tai ehkäisyyn. Mukana oli muutamia leikkauspotilaita. Tehoa mittasivat potilaiden arviot siitä, miten hyvin verenvuoto saatiin hallintaan, sekä verenvuotoepisodien lukumäärä lääkehoidon aikana.

Miten pitkällä hakemuksen arviointi oli sen peruuttamishetkellä?

Hakemus peruutettiin sen jälkeen, kun lääkevalmistekomitea oli arvioinut yhtiön toimittamat asiakirjat ja laatinut kysymysluettelon. Kun lääkevalmistekomitea oli arvioinut yhtiön viimeisiin kysymyksiin antamat vastaukset, joitakin seikkoja oli vielä selvittämättä.

Mikä oli lääkevalmistekomitean suositus tuolloin?

Lääkevalmistekomitea suhtautui saamiensa tietojen ja yhtiön kysymysluetteloön antamien vastausten tarkastelun perusteella varauksellisesti joihinkin seikkoihin hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, ja sen alustava kanta oli, että IXinity-valmistetta ei olisi voitu hyväksyä B-hemofiliaa sairastavien potilaiden verenvuotoepisodien ehkäisyyn ja hoitoon.

Vaikka tutkimukset olivat osoittaneet IXinityn tehon, niissä ilmeni myös, että potilaat muodostivat yllättävän suuria määriä vasta-aineita IXinityn valmistuksessa käytetyistä soluista saaduille proteiineille, joita myös lääke sisälsi. Yhtiö kehitti IXinityn valmistusmenetelmää, jotta nämä proteiinit saataisiin poistettua, mutta ei ollut selvää, vaikuttaisiko puhdistettu lääkevalmiste samoin kuin tutkimuksissa käytetty alkuperäinen valmiste. Lääkevalmistekomitea suositteli potilailla tehtäviä lisätutkimuksia.

Siksi hakemuksen peruuttamisen ajankohtana lääkevalmistekomitean kantana käytettävien tietojen perusteella oli, että puhdistetun IXinityn valmisteen hyöty-riskitasapaino oli negatiivinen.

Mistä syistä yhtiö peruutti hakemuksen?

Yhtiön kirjeessä, jossa se ilmoittaa lääkevirastolle hakemuksen peruuttamisesta, ilmoitetaan hakemuksen peruuttamispäätöksen syyksi, että lääkevalmistekomitean esittämien huolenaiheiden ratkaisemiseen tarvittavia lisätietoja ei pystytäkään toimittamaan säädetyssä ajassa. Yhtiö ilmoitti aikeestaan hakea myyntilupaa uudelleen, kun kyseiset tiedot ovat käytettävissä.

Yhtiön kirje, jossa se ilmoittaa lääkevirastolle hakemuksen peruuttamisesta, on luettavissa [tässä](#).

Mitä seurauksia tämän hakemuksen peruuttamisesta on kliinisiin tutkimuksiin osallistuvilla potilaille?

Yhtiö ilmoitti lääkevalmistekomitealle, että kliinisiin tutkimuksiin osallistuvilla potilaille annetaan edelleen IXinity-valmistetta, jonka tilalle vaihdetaan puhdistettu valmiste, kun tutkimusten muutetut käytännösäännöt on hyväksytty.

Jos olet mukana kliinisessä tutkimuksessa ja tarvitset lisätietoja hoidostasi, ota yhteyttä hoitavaan lääkäriin.