



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

27 juin 2013
EMA/442977/2013
EMA/H/C/002349

Questions et réponses

Retrait de la demande d'autorisation de mise sur le marché pour IXinity (trénonacog alfa)

Le 13 juin 2013, Cangene Europe Ltd. a officiellement notifié au comité des médicaments à usage humain (CHMP) son souhait de retirer sa demande d'autorisation de mise sur le marché pour IXinity, destiné au traitement et à la prévention des saignements chez les patients souffrant d'hémophilie B.

Qu'est-ce qu'IXinity?

IXinity est un médicament qui contient le principe actif trénonacog alfa (facteur IX de coagulation humain recombinant). Il devait être disponible sous forme de poudre et de solvant à reconstituer en solution injectable (500, 1 000 et 1 500 unités).

Dans quel cas IXinity devait-il être utilisé?

IXinity devait être utilisé pour la prévention et le traitement des épisodes de saignements chez les patients âgés de 12 ans au moins, souffrant d'hémophilie B (un trouble hémorragique héréditaire dû à un déficit en facteur IX de coagulation).

Comment IXinity doit-il agir?

Les patients souffrant d'hémophilie B présentent des taux insuffisants de facteur IX, une protéine sanguine qui contribue à la coagulation normale du sang. Cela provoque des problèmes de coagulation sanguine entraînant des saignements au niveau des articulations, des muscles et des organes internes. Le principe actif d'IXinity, le trénonacog alfa, est une forme de facteur IX humain, qui remplace le facteur IX manquant dans le sang, contrôlant ainsi temporairement le trouble hémorragique.

Le principe actif d'IXinity est produit par une méthode appelée «technique de l'ADN recombinant»: il est fabriqué par des cellules qui ont reçu un gène (de l'ADN) qui les rend capables de produire le facteur de coagulation.



Quelle a été la documentation présentée par la société pour justifier sa demande?

La société a présenté les résultats d'études incluant 42 patients présentant une hémophilie B modérée ou sévère, qui ont reçu IXinity pour le traitement ou la prévention des saignements, y compris certains patients ayant subi une intervention chirurgicale. L'efficacité a été mesurée par une évaluation du niveau de contrôle des saignements des patients et par le nombre d'épisodes de saignements survenus pendant qu'ils recevaient le médicament.

À quel stade en était l'évaluation lors du retrait de la demande?

La demande a été retirée après que le CHMP a évalué la documentation présentée par la société et établi des listes de questions. Après l'évaluation par le CHMP des réponses apportées par la société à la dernière série de questions, certaines d'entre elles demeuraient en suspens.

Quelle était la recommandation du CHMP à ce stade?

Sur la base de l'examen des données et de la réponse de la société aux listes de questions du CHMP, au moment du retrait, le CHMP avait des réserves et estimait à ce stade qu'IXinity n'aurait pas pu être approuvé pour la prévention et le traitement des épisodes de saignements survenant chez les patients souffrant d'hémophilie B.

Bien que les études aient apporté des preuves de l'efficacité d'IXinity, elles ont également révélé que les patients produisaient de manière imprévue des taux élevés d'anticorps dirigés contre des protéines provenant des cellules utilisées pour la fabrication d'IXinity, qui se retrouvaient également dans le médicament. La société a perfectionné le procédé de fabrication pour IXinity afin de supprimer ces protéines, mais il n'était pas clair si le médicament amélioré agirait de la même manière que le produit d'origine dans les études, et le CHMP a recommandé qu'une étude complémentaire soit menée chez des patients.

Par conséquent, au moment du retrait de la demande, l'avis du CHMP était que, sur la base des données alors disponibles, le rapport bénéfices/risques du produit IXinity amélioré était négatif.

Quels ont été les motifs invoqués par la société pour le retrait de la demande?

Dans sa lettre notifiant à l'Agence le retrait de la demande, la société a déclaré que sa décision de retirer la demande était fondée sur le fait que les données supplémentaires requises pour remédier aux inquiétudes du CHMP ne pourraient pas être mises à disposition dans le délai réglementaire. La société a fait part de son intention de renouveler sa demande d'autorisation de mise sur le marché dès que les données seraient disponibles.

La lettre de retrait de la société est disponible [ici](#).

Quelles sont les conséquences du retrait pour les patients participant aux essais cliniques?

La société a informé le CHMP que les patients participant actuellement à des essais cliniques continueraient à recevoir IXinity et passeraient au produit amélioré dès que les règles révisées applicables à la conduite des essais auraient été approuvées.

Si vous participez à un essai clinique et si vous souhaitez obtenir des informations complémentaires sur votre traitement, contactez le médecin qui vous a prescrit le traitement.