

2013. június 27.
EMA/442978/2013
EMA/H/C/002349

Kérdések és válaszok

Az IXinity-re (trenonakog-alfa) vonatkozó forgalomba hozatali engedély iránti kérelem visszavonása

2013. június 13-án a Cangene Europe Ltd. hivatalosan értesítette az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottságát (CHMP), hogy vissza kívánja vonni a B-típusú hemofiliás betegeknél a vérzés megelőzésére és kezelésére szánt IXinity-re vonatkozó forgalomba hozatali engedély iránti kérelmét.

Milyen típusú gyógyszer az IXinity?

Az IXinity egy trenonakog-alfa (rekombináns humán IX. faktort) nevű hatóanyagot tartalmazó gyógyszer. A készítmény oldatos injekció készítésére szolgáló por és oldószer (500, 1000 és 1500 egység) formájában került volna forgalomba.

Milyen alkalmazásra szánták az IXinity-t?

Az IXinity-t a vérzéses epizódok megelőzésére és kezelésére kívánták alkalmazni legalább 12 éves, B-típusú hemofiliás (a IX. véralvadási faktor okozta örökletes vérzési zavarban szenvedő) betegeknél.

Milyen hatásmechanizmust várnak az IXinity-től?

A B-típusú hemofiliás betegek vérében nincs elegendő mennyiségű IX. faktor, a normális véralvadását elősegítő fehérje. A hiány véralvadási zavart okoz és ízületi és izomvérzéshez, valamint a belső szervek vérzéséhez vezet. Az IXinity hatóanyaga, a trenonakog-alfa, a humán IX. véralvadási faktor egyik típusa, amely pótolja a vérből hiányzó IX. faktort, átmenetileg megszüntetve a véralvadási zavart.

Az IXinity-ben lévő hatóanyagot „rekombináns DNS-technológiának” nevezett módszerrel állítják elő: olyan sejtek termelik, amelybe a véralvadási faktor szintetizálására való képességet biztosító gént (DNS-t) vittek be.

Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a kérelem alátámasztására?

A vállalat olyan vizsgálatok eredményeit nyújtotta be, amelyekben 42 középsúlyos vagy súlyos B-típusú hemofíliás beteg vett részt és kapott IXinity-kezelést a vérzés kezelésére vagy megelőzésére, többek között olyan betegek is, akik műtéten estek át. A hatékonyságot az alapján mérték, hogy a beteg miként értékelte a vérzés csillapításának szabályozását, valamint az alapján, hogy a gyógyszer alkalmazása közben hány vérzéses epizód fordult elő.

A visszavonás előtt meddig jutott el a kérelem az elbírálási folyamatban?

A kérelmet azután vonták vissza, hogy a CMPH megvizsgálta a vállalat által benyújtott dokumentációt, és kérdéslistát állított össze. Azt követően, hogy a CHMP értékelte a vállalat által az utolsó kérdéssorra adott válaszait, még mindig maradt néhány megválaszolatlan kérdés.

Mit tartalmazott a CMPH ajánlása az adott időpontban?

A visszavonás időpontjában az adatok és a vállalat által a CHMP listáin szereplő kérdésekre adott válasz áttekintése alapján a CHMP részéről néhány aggály merült fel, és az volt az ideiglenes véleménye, hogy az IXinity nem engedélyezhető a vérzés megelőzésére és kezelésére a B-típusú hemofíliás betegeknél.

Bár a vizsgálatok alátámasztották az IXinity hatékonyságát, arra is rámutattak, hogy a betegeknél váratlanul nagy mennyiségű ellenanyag termelődik az IXinity előállítására használt sejtekből származó fehérjével szemben, amelyek szintén jelen vannak a gyógyszerben. A vállalat finomította az IXinity gyártási folyamatát annak érdekében, hogy ezeket a fehérjéket eltávolítsa, de az nem tisztázódott, hogy a finomított gyógyszer ugyanolyan hatású-e, mint a vizsgálatokban használt eredeti készítmény és a CHMP betegekkal végzendő további vizsgálatokat javasolt.

Ezért a visszavonás időpontjában a CHMP azon a véleményen volt, hogy a jelenleg rendelkezésre álló adatok alapján a finomított IXinity készítmény előny-kockázat profilja negatív.

Mivel indokolta a vállalat a kérelem visszavonását?

A kérelem visszavonásáról az Ügynökségnek küldött levelében a vállalat azt írta, hogy a visszavonásra irányuló döntése azon a tényen alapult, hogy a CHMP által felvetett aggályok kezeléséhez szükséges további adatok nem biztosíthatók a törzskönyvezésre megszabott időn belül. A vállalat kifejezte abbéli szándékát, hogy amint az adatok rendelkezésre állnak a forgalomba hozatali engedély iránti kérelmét újra benyújtja.

A visszavonásról értesítő levél [itt](#) érhető el.

Milyen következményekkel jár a visszavonás azokra a betegekre nézve, akik klinikai vizsgálatokban vettek részt?

A vállalat arról tájékoztatta a CHMP-t, hogy a klinikai vizsgálatokban résztvevő betegek továbbra is kapják az IXinity-t, és át fogják állítani őket a finomított termékre, amint a vizsgálatok lefolytatásának módosított szabályait az illetékes hatóságok jóváhagyták.

Ha Ön ilyen klinikai vizsgálatban vesz részt, és kezelését illetően további információra van szüksége, vegye fel a kapcsolatot kezelőorvosával!