



European Medicines Agency

Londra, 25 giugno 2009
Doc. rif. EMEA/454532/2009
EMA/H/C/901

**Domande e risposte sul ritiro
della domanda di autorizzazione all'immissione in commercio
per
Biferonex
interferone beta-1a**

Il 28 maggio 2009, la ditta BioPartners GmbH ha formalmente notificato al comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) il ritiro della domanda di autorizzazione all'immissione in commercio riferita a Biferonex, medicinale per il trattamento della sclerosi multipla recidivante-remittente.

Che cos'è Biferonex?

Biferonex è una soluzione iniettabile contenente il principio attivo interferone beta-1a. Il medicinale avrebbe dovuto presentarsi in siringhe preriempite.

Per che cosa avrebbe dovuto essere usato Biferonex?

Biferonex avrebbe dovuto essere usato per il trattamento di pazienti adulti affetti da sclerosi multipla recidivante-remittente. La sclerosi multipla è una malattia del sistema nervoso in cui l'infiammazione intacca la guaina che protegge i nervi. Recidivante-remittente significa che il paziente subisce attacchi (ricadute) seguiti da intervalli con sintomi più lievi (remissione). Biferonex sarebbe dovuto essere somministrato a soggetti che avevano subito due o più attacchi nel biennio precedente.

Come avrebbe agito Biferonex?

Il principio attivo contenuto in Biferonex, l'interferone beta-1a, appartiene al gruppo "interferoni". Gli interferoni sono sostanze naturali che l'organismo produce per difendersi da aggressioni quali infezioni virali. Biferonex avrebbe dovuto agire modulando il funzionamento del sistema immunitario (le difese naturali dell'organismo) e prevenendo ricadute della sclerosi multipla.

L'interferone beta-1a è ottenuto con un metodo noto come "tecnologia del DNA ricombinante": esso è prodotto mediante una cellula arricchita di un gene (DNA) che la rende in grado di produrre interferone beta-1a. L'interferone beta-1a contenuto in Biferonex agisce in modo analogo all'interferone beta prodotto naturalmente.

Biferonex contiene lo stesso principio attivo di altri medicinali denominati Avonex e Rebif, autorizzati nell'Unione europea rispettivamente dal 1997 e dal 1998. Al contrario di questi medicinali, Biferonex è prodotto in maniera tale da non contenere albumina, la proteina presente nel sangue umano.

Qual è la documentazione presentata dalla ditta al CHMP a sostegno della domanda?

Gli effetti di Biferonex sono stati analizzati in modelli sperimentali prima di essere studiati sugli esseri umani.

La ditta ha presentato i risultati di uno studio principale che metteva a confronto Biferonex con un placebo (trattamento fittizio) in 339 soggetti adulti affetti da sclerosi multipla recidivante-remittente. Ciascun paziente ha assunto Biferonex oppure il placebo per un periodo di due anni. Il principale indicatore dell'efficacia si basava sulla riduzione del numero di attacchi.

La ditta ha inoltre utilizzato informazioni relative ad Avonex come pure informazioni provenienti dalla letteratura pubblicata su altri medicinali a base di interferone beta.

A che punto della valutazione si trovava la domanda quando è stata ritirata?

La valutazione si era conclusa e il CHMP aveva formulato parere negativo. La ditta aveva chiesto un riesame del parere negativo, ma il riesame non era ancora terminato nel momento in cui la ditta ha ritirato la domanda.

Qual era la raccomandazione del CHMP a quel punto?

Al momento del ritiro, il CHMP aveva emesso parere negativo e raccomandato il rigetto della domanda di autorizzazione all'immissione in commercio riferita a Biferonex, per il trattamento della sclerosi multipla recidivante-remittente.

Quali erano i principali dubbi del CHMP?

Il comitato, avendo riscontrato delle differenze tra il principio attivo contenuto in Biferonex e gli altri medicinali a base di interferone beta disponibili in commercio, ha concluso che il fatto di addurre studi pubblicati su questi ultimi medicinali a sostegno dell'impiego di Biferonex non era giustificato e che sarebbero stati necessari studi specifici su Biferonex.

Inoltre il CHMP ha ritenuto che i risultati del singolo studio cardine svolto su Biferonex non dimostravano in maniera adeguata l'efficacia del medicinale. Sulla base delle informazioni presentate al comitato, non era chiaro se ciò fosse attribuibile alla maniera in cui lo studio era stato concepito, al modo in cui i risultati erano stati analizzati oppure al medicinale stesso.

Al momento del ritiro, il CHMP era pertanto del parere che, nel trattamento di pazienti affetti da sclerosi multipla recidivante-remittente, i benefici di Biferonex non fossero superiori ai suoi rischi.

Quali sono i motivi esposti dalla ditta per il ritiro della domanda?

La lettera della ditta inviata all'EMA in cui notifica il ritiro della domanda può essere consultata cliccando [qui](#).

Quali sono le conseguenze del ritiro per i pazienti inseriti in studi clinici o in programmi di uso compassionevole con Biferonex?

La ditta ha informato il CHMP che non sono in corso sperimentazioni cliniche o programmi di uso compassionevole con Biferonex.