

21 luglio 2017
EMA/440995/2017
EMA/H/C/003934

Domande e risposte

Ritiro della domanda di autorizzazione all'immissione in commercio per Infinia (alfa-1-antitripsina)

Il 21 giugno 2017 Kamada BioPharma Limited ha notificato ufficialmente al comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) la sua intenzione di ritirare la domanda di autorizzazione all'immissione in commercio per Infinia, per il trattamento di adulti con una patologia polmonare dovuta a carenza congenita di alfa-1-antitripsina.

Che cos'è Infinia?

Infinia è un medicinale contenente il principio attivo alfa-1-antitripsina (noto anche come inibitore dell'alfa₁-proteinasi). Avrebbe dovuto essere disponibile sotto forma di soluzione inalabile.

Per che cosa avrebbe dovuto essere usato Infinia?

Il medicinale avrebbe dovuto essere utilizzato per il trattamento di una patologia polmonare in adulti con carenza congenita (innata) di alfa-1-antitripsina. La carenza di questo enzima può causare danni ai polmoni (come enfisema e ostruzione delle vie aeree) con conseguenti disturbi respiratori.

Infinia è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 16 novembre 2004 per il trattamento di enfisema dovuto a carenza congenita di alfa-1-antitripsina. Ulteriori informazioni sulla designazione di medicinale orfano sono disponibili [qui](#).

Nell'UE sono autorizzati altri medicinali contenenti l'alfa-1-antitripsina per la stessa malattia, ma vengono iniettati in vena tramite infusione (iniezione goccia a goccia).

Come agisce Infinia?

Il principio attivo di Infinia, l'alfa-1-antitripsina, è una proteina presente nel sangue che protegge il tessuto polmonare. Si ricava dal sangue umano e avrebbe dovuto sostituire la proteina mancante nei polmoni dei pazienti affetti da carenza di alfa-1-antitripsina.

Quale documentazione ha presentato la ditta a sostegno della domanda?

La ditta ha presentato i risultati di uno studio principale su 168 pazienti in cui sono stati esaminati gli effetti del medicinale sulle esacerbazioni (improvvisi aggravamenti dei sintomi) della malattia. Il medicinale è stato messo a confronto con un placebo (trattamento simulato) e la principale misura di efficacia è stata la durata dei periodi di tempo in cui i pazienti non avevano un'esacerbazione.

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

La domanda è stata ritirata dopo che il CHMP aveva valutato la documentazione fornita dalla ditta e aveva formulato una serie di domande. Dopo la valutazione da parte del CHMP delle risposte della ditta all'ultima serie di domande, alcuni problemi erano rimasti irrisolti.

Qual era la raccomandazione del CHMP a quel punto?

In base all'esame dei dati, al momento del ritiro della domanda il CHMP nutriva alcuni dubbi ed era provvisoriamente del parere che Infinia non avrebbe potuto essere autorizzato per il trattamento di adulti con patologie polmonari dovute a carenza congenita di alfa-1-antitripsina.

Il comitato riteneva che lo studio non avesse dimostrato effetti benefici nella popolazione esaminata. Inoltre, vi erano dubbi anche in merito al profilo di tollerabilità e sicurezza del medicinale, dato che i pazienti trattati con Infinia avevano dovuto sospendere il trattamento a causa di effetti indesiderati più spesso rispetto ai pazienti trattati con placebo. Sussistevano altresì timori che i pazienti trattati con Infinia potessero sviluppare anticorpi contro il medicinale, cosa che potrebbe ridurre gli effetti o aumentare la propensione dei pazienti a reazioni allergiche.

Pertanto, al momento del ritiro della domanda il CHMP riteneva che i benefici di Infinia non fossero superiori ai suoi rischi.

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

Nella lettera con cui notifica all'Agenzia il ritiro della domanda, la ditta ha dichiarato che aveva bisogno di più tempo per raccogliere le informazioni aggiuntive richieste dal CHMP in relazione alla domanda.

La lettera di ritiro della domanda è consultabile [qui](#).

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

La ditta ha informato il CHMP che non vi sono conseguenze per i pazienti attualmente inclusi in sperimentazioni cliniche o programmi di uso compassionevole con Infinia.

Le persone inserite in uno studio clinico o in un programma di uso compassionevole che abbiano bisogno di maggiori informazioni sul proprio trattamento possono consultare il medico che le sta trattando.