



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

27 giugno 2013
EMA/442979/2013
EMA/H/C/002349

Domande e risposte

Ritiro della domanda di autorizzazione all'immissione in commercio per IXinity (trenonacog alfa)

Il 13 giugno 2013 Cangene Europe Ltd. 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 IXinity per il trattamento e la prevenzione di emorragia nei pazienti affetti da emofilia B.

Che cos'è IXinity?

IXinity è un medicinale che contiene il principio attivo trenonacog alfa (fattore IX umano ricombinante). Avrebbe dovuto essere disponibile in polvere e solvente per la costituzione di una soluzione iniettabile (500, 1.000 e 1.500 unità).

Per che cosa avrebbe dovuto essere usato IXinity?

IXinity avrebbe dovuto essere usato per la prevenzione e il trattamento di episodi emorragici, in pazienti di almeno 12 anni di età affetti da emofilia B (un disturbo della coagulazione ereditario, causato dalla mancanza del fattore IX).

Come avrebbe dovuto agire IXinity?

I pazienti affetti da emofilia B non hanno livelli sufficienti di fattore IX, una proteina presente nel sangue che ne favorisce la normale coagulazione. Ciò causa problemi con la coagulazione del sangue, con conseguenti emorragie nelle articolazioni, nei muscoli e negli organi interni. Il principio attivo in IXinity, trenonacog alfa, è una forma di fattore IX umano che sostituisce il fattore IX mancante nel sangue, controllando temporaneamente il disturbo della coagulazione.

Il principio attivo in IXinity è prodotto con un metodo noto come "tecnologia del DNA ricombinante": è realizzato da cellule nelle quali è stato introdotto un gene (DNA), che permette loro di produrre il fattore di coagulazione.



Quale documentazione ha presentato la ditta a sostegno della domanda?

La ditta ha presentato i risultati di studi a cui hanno partecipato 42 pazienti con emofilia B moderata o grave, a cui era stato somministrato IXinity per il trattamento o la prevenzione di emorragia, inclusi alcuni pazienti sottoposti a intervento chirurgico. L'efficacia è stata misurata mediante la valutazione eseguita dai pazienti del livello di controllo dell'emorragia e mediante il numero di episodi emorragici verificatisi durante l'assunzione del medicinale.

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 e delle risposte fornite dalla ditta agli elenchi di domande poste dal CHMP, al momento del ritiro della domanda, il CHMP aveva alcuni dubbi ed era provvisoriamente del parere che IXinity non potesse essere autorizzato per la prevenzione e il trattamento degli episodi emorragici nei pazienti con emofilia B.

Sebbene gli studi avessero evidenziato prove dell'efficacia di IXinity, avevano altresì rivelato che i pazienti sviluppavano un livello inaspettatamente elevato di anticorpi nei confronti delle proteine derivate dalle cellule utilizzate per la produzione di IXinity, presenti anche nel medicinale. La ditta ha perfezionato il processo di fabbricazione di IXinity al fine di eliminare queste proteine, ma non era chiaro se il medicinale perfezionato avrebbe agito allo stesso modo del prodotto originale negli studi; il CHMP ha quindi raccomandato un ulteriore studio nei pazienti.

Pertanto, al momento del ritiro della domanda, il CHMP riteneva che, sulla base dei dati attualmente disponibili, il rapporto rischi/benefici del medicinale IXinity perfezionato fosse negativo.

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

Nella lettera con cui notifica all'Agenzia il ritiro della domanda, la ditta affermava che la decisione di ritirare la domanda si basava sull'impossibilità di rendere disponibili i dati supplementari richiesti per affrontare i timori del CHMP entro la tempistica stabilita. La ditta ha espresso l'intenzione di ripresentare la domanda di autorizzazione all'immissione in commercio una volta disponibili i dati.

La lettera di notifica del ritiro è consultabile qui ([qui](#)).

Quali sono le conseguenze del ritiro per i pazienti inseriti in studi clinici?

La ditta ha informato il CHMP che i pazienti attualmente inseriti in studi clinici continueranno a ricevere IXinity e passeranno al medicinale perfezionato una volta approvate le regole riviste per la conduzione delle sperimentazioni.

Le persone inserite in uno studio clinico che abbiano bisogno di maggiori informazioni sul loro trattamento possono consultare il medico che le sta trattando.