

2013 m. birželio 27 d.
EMA/442980/2013
EMA/H/C/002349

Klausimai ir atsakymai

Paraiškos gauti IXinity (trenonakogo alfa) rinkodaros teisę atsiėmimas

2013 m. birželio 13 d. bendrovė „Cangene Europe Ltd“ oficialiai pranešė Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komitetui (CHMP) apie savo pageidavimą atsiimti paraišką gauti IXinity, skirtą hemofilija B sergančių pacientų gydymui prasidėjus kraujavimui ir jo prevencijai sergant šia liga, rinkodaros teisę.

Kas yra IXinity?

IXinity – tai vaistas, kurio sudėtyje yra veikliosios medžiagos trenonakogo alfa (rekombinantinio žmogaus IX faktoriaus). Jį buvo numatyta tiekti miltelių ir tirpiklio, iš kurių ruošiamas švirkščiamasis tirpalas, forma (500, 1 000 ir 1 500 vienetų).

Kokiais atvejais buvo numatyta vartoti IXinity?

IXinity buvo numatyta naudoti gydant ne jaunesnius kaip 12 metų hemofilija B (paveldimu IX faktoriaus trūkumo sukeliama kraujavimo sutrikimu) sergančius pacientus prasidėjus kraujavimo epizodams ir siekiant išvengti tokių kraujavimo epizodų.

Kokio tikimasi IXinity veikimo

Hemofilija B sergančių pacientų kraujyje yra nepakankama IX faktoriaus – baltymo, kuris padeda kraujui normaliai krešėti,– koncentracija. Tai sukelia kraujo krešėjimo sutrikimus, dėl kurių prasideda kraujavimas į sąnarius, raumenis ir vidaus organus. Veiklioji IXinity medžiaga trenonakogo alfa yra tam tikros formos IX faktorius, kuriuo kompensuojamas kraujyje nesantis IX faktorius ir kuris taip padeda laikinai suvaldyti šį kraujavimo sutrikimą.

Veiklioji IXinity medžiaga gaminama vadinamuoju rekombinantinės DNR technologijos būdu: ją gamina ląstelės, kurioms buvo implantuotas krešėjimo faktoriaus gamybą užtikrinantis genas.

Kokius dokumentus bendrovė pateikė kartu su paraiška?

Bendrovė pateikė tyrimų, kuriuose dalyvavo 42 vidutinio sunkumo arba sunkios formos hemofilija B sergantys pacientai, kuriems IXinity buvo sušvirkšta prasidėjus kraujavimui arba siekiant jo išvengti, įskaitant kelis pacientus, kuriems buvo atliekama operacija, rezultatus. Veiksmingumas buvo vertinamas pagal pacientų vertinimą, kiek sėkmingai pavyko kontroliuoti kraujavimą, ir pagal kraujavimo epizodų, kurie pasireiškė vartojant šį vaistą, skaičių.

Kuriuo paraiškos nagrinėjimo etapu paraiška atsiimta?

Ši paraiška atsiimta, kai CHMP jau buvo įvertinęs bendrovės pateiktus dokumentus ir parengęs klausimų sąrašus. CHMP įvertinus bendrovės atsakymus į paskutinį kartą pateiktus klausimus, vis dar buvo likę neišspręstų klausimų.

Kokia tuo metu buvo CHMP rekomendacija

Remdamasis peržiūrėtais duomenimis ir bendrovės atsakymais į CHMP parengtų sąrašų klausimus, paraiškos atsiėmimo metu CHMP dar turėjo abejonių ir buvo priėmęs negalutinę nuomonę, kad IXinity negali būti registruotas hemofilija B sergančių pacientų gydymui prasidėjus kraujavimo epizodams ir tokių kraujavimo epizodų prevencijai.

Nors tyrimai patvirtino IXinity veiksmingumą, jie taip pat atskleidė, kad pacientų kraujyje susidarė netikėtai didelė antikūnų, veikiančių IXinity gamyboje naudojamų ląstelių baltymus, kurių taip pat buvo vaiste, koncentracija. Bendrovė patobulino IXinity gamybos procesą, kad iš vaisto būtų pašalinti šie baltymai, tačiau nebuvo aišku, ar išgrynintas vaistas veiks taip pat, kaip tyrimuose naudotas originalus preparatas, ir CHMP rekomendavo atlikti papildomą tyrimą su pacientais.

Todėl paraiškos atsiėmimo metu CHMP laikėsi nuomonės, kad remiantis šiuo metu turimais duomenimis, išgryninto IXinity preparato naudos ir rizikos santykis yra neigiamas.

Kokias paraiškos atsiėmimo priežastis nurodė bendrovė?

Laiške, kuriuo agentūrai pranešta apie paraiškos atsiėmimą, bendrovė nurodė, kad sprendimas atsiimti paraišką buvo pagrįstas tuo, kad ji negali per teisės aktuose nustatytą terminą pateikti papildomų duomenų, kurių reikia CHMP nerimą keliantiems klausimams išspręsti. Bendrovė pareiškė ketinanti surinkusi duomenis pakartotinai pateikti paraišką rinkodaros teisei gauti.

Laišką dėl paraiškos atsiėmimo galima rasti [čia](#).

Kokių pasekmių paraiškos atsiėmimas turės pacientams, dalyvaujantiems klinikiniuose tyrimuose?

Bendrovė pranešė CHMP, kad klinikiniuose tyrimuose šiuo metu dalyvaujantys pacientai toliau vartos IXinity, o patvirtinus persvarstytas tyrimų vykdymo tvarkos taisykles pereis prie gydymo išgrynintu preparatu.

Jeigu dalyvaujate klinikiniame tyrime ir pageidaujate gauti daugiau informacijos apie Jums taikomą gydymą, kreipkitės į Jus gydantį gydytoją.