

2013. gada 27. jūnijs
EMA/442981/2013
EMA/H/C/002349

Jautājumi un atbildes

Zāļu *Ixinity* (alfa trenonakogs) reģistrācijas apliecības pieteikuma atsaukšana

Uzņēmums *Cangene Europe Ltd.* 2013. gada 13. jūnijā oficiāli informēja Cilvēkiem paredzēto zāļu komiteju (*CHMP*) par savu lēmumu atsaukt zāļu *Ixinity* reģistrācijas apliecības pieteikumu. Šīs zāles bija paredzētas asiņošanas profilaksei un ārstēšanai pacientiem ar B hemofiliju.

Kas ir *Ixinity*?

Ixinity ir zāles, kas satur aktīvo vielu alfa trenonakogu (rekombinants cilvēka IX faktors). Tās bija paredzētas kā pulveris un šķīdinātājs injekciju šķīduma pagatavošanai (500, 1000 un 1500 vienību).

Kādam nolūkam bija paredzēts lietot *Ixinity*?

Ixinity bija paredzēts lietot, lai novērstu un ārstētu asiņošanas epizodes pacientiem ar B hemofiliju (iedzimti asiņošanas traucējumi, ko izraisa IX faktora trūkums), kas nav jaunāki par 12 gadiem.

Kāda ir paredzamā *Ixinity* iedarbība?

Pacientiem ar B hemofiliju asinīs nav pietiekams IX faktora jeb tādas olbaltumvielas, kas palīdz asinīm normāli sarecēt, līmenis. Tas rada asins recēšanas traucējumus, izraisot asiņošanu locītavās, muskuļos un iekšējos orgānos. *Ixinity* aktīvā viela alfa trenonakogs ir cilvēka IX faktora veids, kas aizvieto trūkstošo IX faktoru asinīs, uz laiku kontrolējot asiņošanas traucējumus.

Ixinity aktīvo vielu iegūst ar tā dēvēto "rekombinantās DNS tehnoloģiju": to ražo šūnas, kurās ir ievadīts gēns (DNS), kas spēj ražot asins recēšanas faktoru.

Kādus dokumentus uzņēmums iesniedza pieteikuma pamatošanai?

Uzņēmums iesniedza pētījumu rezultātus, kurā iesaistīti 42 pacienti ar mērenu vai smagu B hemofiliju, kuri lietoja *Ixinity* asiņošanas ārstēšanai vai profilaksei, tostarp daži pacienti, kuriem tika veikta

operācija. Efektivitāti mērija pēc pacienta novērtējuma par to, cik labi tika kontrolēta asiņošana, kā arī pēc asiņošanas epizožu skaita, kas notika, saņemot zāles.

Kurā pieteikuma vērtēšanas posmā pieteikumu atsauca?

Pieteikums tika atsaukts pēc tam, kad *CHMP* bija novērtējusi uzņēmuma iesniegtos dokumentus un sagatavojusi jautājumu sarakstus. Novērtējusi uzņēmuma sniegtās atbildes uz pēdējā posma jautājumiem, *CHMP* konstatēja, ka dažas problēmas vēl nav atrisinātas.

Kāds bija *CHMP* ieteikums tajā laikā?

Pamatojoties uz izskatītajiem datiem un uzņēmuma atbildēm uz *CHMP* jautājumu sarakstu, atsaukšanas brīdī *CHMP* bija daži iebildumi, un *CHMP* tobrīd atzina, ka *Ixinity* nevarēja apstiprināt B hemofilijas asiņošanas epizodes profilaksei un ārstēšanai.

Lai gan pētījumos tika pierādīta *Ixinity* efektivitāte, tajos arī atklāja, ka pacientiem radās negaidīti augsts antivielu līmenis pret olbaltumvielām no šūnām, ko izmanto *Ixinity* ražošanā un ko satur arī šīs zāles. Uzņēmums uzlaboja *Ixinity* ražošanas procesu, lai izslēgtu šīs olbaltumvielas, bet nebija skaidrs, vai uzlabotās zāles varētu darboties tāpat kā oriģinālās zāles pētījumā, un *CHMP* ieteica veikt turpmāku pētījumu pacientiem.

Tāpēc atsaukšanas brīdī *CHMP* uzskatīja, ka, pamatojoties uz pašlaik pieejamajiem datiem, uzlabotā zāļu *Ixinity* ieguvumi nepārsniedz to radīto risku.

Kā uzņēmums pamatoja pieteikuma atsaukšanu?

Aģentūrai adresētajā vēstulē par pieteikuma atsaukšanu uzņēmums paziņoja, ka pieteikuma atsaukšanas lēmuma pamatā bija fakts, ka tiesību aktos noteiktajā termiņā nevarēja nodrošināt nepieciešamos papildu datus, lai kļiedētu *CHMP* bažas. Uzņēmums pauda nodomu atkārtoti pieteikt reģistrācijas apliecības pieteikumu, kad būs pieejami dati.

Atsaukuma vēstule ir pieejama [šeit](#).

Kādas sekas šis atsaukums radīs pacientiem, kuri piedalās klīniskajos pētījumos?

Uzņēmums informēja *CHMP*, ka pacienti, kuri pašlaik piedalās klīniskajos pētījumos, turpina lietot *Ixinity* un terapija tiks mainīta ar uzlabotajām zālēm, tiklīdz tiks apstiprināti pārskatītie noteikumi pētījuma veikšanai.

Ja Jūs pašreiz piedalāties klīniskajā pētījumā un vēlaties saņemt plašāku informāciju par terapiju, jautāriet ārstam, kas Jums to nodrošina.