

Londra, 26 ta' April 2007
Dok. Ref. EMEA/231350/2007

MISTOQSIJJIET U TWEĠIBIET DWAR L-IRTIRAR TA' L-APPLIKAZZJONI GHALL-AWTORIZZAZZJONI GHAT-TQEGHID FIS-SUQ
ghal
IPLEX

Isem Internazzjonali Mhux Patentat (INN): **mecasermin rinfabate**

Fis-26 ta' Marzu 2007, Insmad Europe Ltd għarrfet uffiċjalment lill-Kumitat għall-Prodotti Mediċinali għall-Użu mill-Bniedem (CHMP) li tixtieq tirtira l-applikazzjoni tagħha għall-awtorizzazzjoni għat-tqeghid fis-suq għal IPLEX, għat-trattament ta' pazjenti b'insensittività primarja għall-ormon tat-tkabbir u ta' pazjenti bi tħassir tal-gene ta' l-ormon tat-tkabbir li jkunu żviluppaw antikorpi li jinnewtralizzaw l-ormon tat-tkabbir.

X'inhu IPLEX?

IPLEX hu soluzzjoni għall-injezzjoni li fiha 60 mg/ml mecasermin rinfabate bħala s-sustanza attiva.

Għal xiex kien mistenni li jintuża IPLEX?

IPLEX kellu jintuża minn tfal ta' statura qasira li għisimhom ikollu problemi fil-ġestjoni ta' l-ormon tat-tkabbir minhabba li:

- ikollhom insensittività primarja għall-ormon, u allura jekk jinghataw ormon tat-tkabbir b'injezzjoni, dan ma jkollu l-ebda effett. 'Primarja' tfisser li ma tkun magħrufa l-ebda raġuni għall-insensittività.
- ma jkunux kapaċi jipproduċu ormon tat-tkabbir u jkunu ngħataw ormon tat-tkabbir qabel, iżda jkunu żviluppaw antikorpi newtralizzanti, proteini speċjali li jipprevjenu li l-ormon tat-tkabbir jagħmel effett.

Billi l-għadd ta' pazjenti b'dawn it-tipi ta' mard huwa wiehed baxx, dawn huma meqjusa 'rari', u mecasermin rinfabate ġie kkategorizzat bħala 'medicina orfni' (medicina użata f'mardiet rari) fl-20 ta' Ġunju 2006.

Kif kien mistenni jaħdem IPLEX?

Is-sustanza attiva f'IPLEX, mecasermin rinfabate, hija proteina binarja magħmula minn żewġ proteini li normalment huma prodotti mill-ġisem: *insulin-like growth factor I* (IGF-I) u *insulin-like growth factor binding protein 3* (IGFBP-3). Mecasermin rinfabate jiġi prodott b'metodu magħruf bħala 'teknoloġija rikombinanti tad-DNA': jiġi prodott minn batterji li jkunu rċewew gene (DNA), li jagħmilha possibbli li jipproduċuha.

Fil-ġisem, l-ormon tat-tkabbir naturali jippromwovi t-tkabbir fit-tfal billi jistimula l-ġisem sabiex jipproduċi IGF-I. Imbagħad IGF-I jehel ma' IGFBP-3 għax dan jimita l-mod li bih IGF-1 jingarr fil-ġisem. Dan jippermetti lil IGF-I jiċċirkula fil-ġisem f'livelli oghla u għal perjodi itwal ta' hin meta mqabbel ma' IGF-I mhux imwagħhal.

X'dokumentazzjoni ipprezentat il-kumpannija biex issaħħah l-applikazzjoni tagħha lis-CHMP?

L-effetti ta' IPLEX għall-ewwel ġew ittestjati fuq mudelli sperimentali qabel ma ġew studjati fin-nies. L-effettività tiegħu ġiet studjata fi studju kliniku, li għadu għaddej. Fl-istudju, 27 tifel u tifla (ta' bejn 3 u 15-il sena) qieghdin jinghataw IPLEX għal perjodu ta' mhux iktar minn sena. Il-mezz ewlieni tal-kejl ta' l-effettività hu bbażat fuq il-heffa tat-tkabbir matul l-istudju, meta mqabbel ma' dak fis-sena ta' qabel inbeda l-istudju.

Sa fejn kienet waslet l-evalwazzjoni ta' l-applikazzjoni meta giet irtirata?

L-applikazzjoni kienet waslet fil-120 jum meta l-kumpannija rtiratha. Is-CHMP kien ifformula lista ta' mistoqsijiet biex jitwiegħbu mill-kumpannija, iżda l-kumpannija kienet għadha ma wegħbithomx. Is-CHMP normalment jiehu sa mitejn u għaxart ijiem biex jevalwa applikazzjoni għdida. Abbażi tal-valutazzjoni tad-dokumentazzjoni inizjali, is-CHMP ihejji lista ta' mistoqsijiet fil-120 jum, u din il-lista tintbagħat lill-kumpannija. Ladarba l-kumpannija tkun tat it-tweġibiet għall-mistoqsijiet, is-CHMP janalizzahom u jista', qabel ma jagħti opinjoni, jistaqsi xi mistoqsijiet oħra fil-180 jum. Wara l-opinjoni tas-CHMP, ġeneralment iridu jgħaddu madwar xahrejn biex il-Kummissjoni Ewropea toħroġ liċenzja.

X'kienet ir-rakkomandazzjoni tas-CHMP f'dan iż-żmien?

Abbażi ta' l-analiżi tad-dejta fi żmien l-irtirar, is-CHMP kellu xi tħassib u kien ta' l-opinjoni proviżorja li IPLEX ma setax jiġi approvat għat-trattament ta' pazjenti b'insensittività primarja għall-ormon tat-tkabbir u ta' pazjenti bi tħassir tal-ġene ta' l-ormon tat-tkabbir li jkunu żviluppaw antikorpi li jinnewtralizzaw l-ormon tat-tkabbir.

X'kienu l-preokkupazzjonijiet ewlenin tas-CHMP?

Is-CHMP kellu preokkupazzjonijiet ewlenin dwar il-mod li bih tiġi manifatturata l-medicina, u ma kienx ċert jekk il-medicina li kienet se tiddaħhal fis-suq kinitx tista' titqabbel ma' dik użata fl-istudju kliniku. Kellu wkoll tħassib dwar il-mod li bih kienet giet valutata l-effettività tal-medicina, speċjalment dwar it-tip ta' pazjenti li kienu inklużi fl-istudju kliniku. Barra minn hekk, il-pazjenti ma kinux ġew trattati għal żmien twil biżżejjed biex ikun jista' jintwera li l-effett tal-medicina ikompli meta dan jibqa' jintuża għal iktar minn sena.

Għalhekk, fi żmien l-irtirar, l-opinjoni tas-CHMP kienet li l-benefiċċju ta' IPLEX ma kienx intwera biżżejjed u li ma għelibx ir-riskji identifikati.

X'kienu r-ragunijiet mogħtija mill-kumpannija għall-irtirar ta' l-applikazzjoni?

L-ittra li biha l-kumpannija għarrfet lill-EMA bl-irtirar ta' l-applikazzjoni tinsab [hawn](#).

X'inhuma l-konsegwenzi ta' l-irtirar għal pazjenti li qed jieħdu sehem fl-istudji kliniċi / programmi ta' użu li jaqblu ma' IPLEX?

Il-kumpannija għarrfet lis-CHMP li l-irtirar m'hu se jkollu l-ebda effett fuq l-istudju kliniku li hu għaddej dwar is-sigurtà u l-effikaċja ta' IPLEX fit-trattament tas-Sindromu ta' l-Insensittività għall-Ormon tat-Tkabbir.

Jekk int qed tiehu sehem fi studju kliniku jew fi programm ta' użu li jaqbel u teħtieġ iktar taġħrif dwar it-trattament tiegħek, ikkuntattja lit-tabib li qed jagħtik din il-medicina.