



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

27 ta' Ġunju 2013
EMA/442983/2013
EMA/H/C/002349

Mistoqsijiet u twegibiet

L-irtirar tal-applikazzjoni għall-awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq għal IXinity (trenonacog alfa)

Fit-13 ta' Ġunju 2013, Cangene Europe Ltd. għarrfet uffiċjalment lill-Kumitat għall-Prodotti Mediċinali għall-Użu mill-Bniedem (CHMP) bi-intenzjoni li tirtira l-applikazzjoni tagħha għall-awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq għal IXinity, għall-kura u l-prevenzjoni ta' fsada f'pazjenti bi-emofilja B.

X'inhu IXinity?

IXinity huwa mediċina li fiha s-sustanza attiva trenonacog alfa (fattur IX rikombinanti uman). Kien mistenni li jkun disponibbli bħala trab u solvent biex jagħmlu soluzzjoni għal injezzjoni (500, 1,000 u 1,500 unità).

Għalxiex kien mistenni li jintuża IXinity?

IXinity kien mistenni li jintuża fil-prevenzjoni u l-kura ta' episodji ta' fsada f'pazjenti ta' mill-inqas 12-il sena li jbatu minn emofilja B (disturb ta' fsada li jintiret ikkawżat minn nuqqas tal-fattur IX).

Kif huwa mistenni li jaħdem IXinity?

Pazjenti bi-emofilja B m'għandhomx livelli biżżejjed tal-fattur IX, proteina fid-demmi li tgħinu jagħqad b'mod normali. Dan jikkawża problemi fit-tagħqid tad-demmi, li jwassal għal fsada fil-ġogi, fil-muskoli u fl-organi interni. Is-sustanza attiva f'IXinity, trenonacog alfa, hija forma tal-fattur IX uman li tissostitwixxi l-fattur IX niegħes fid-demmi, li temporanjament tikkontrolla d-disturb ta' fsada.

Is-sustanza attiva f'IXinity hija prodotta b'metodu magħruf bħala 'teknoloġija rikombinanti tad-DNA': issir minn ċelloli li fihom ġie introdott ġene (DNA) li jagħmilhom kapaċi jirriproduċu l-fattur ta' tagħqid.



X'dokumentazzjoni pprezentat il-kumpanija biex tappoġġja l-applikazzjoni tagħha?

Il-kumpanija pprezentat ir-riżultati ta' studji li fihom ħadu sehem 42 pazjent bl-emofilja B moderata jew severa li ngħataw IXinity għall-kura jew il-prevenzjoni ta' fsada, inkluż xi pazjenti li kienu għaddejjin minn kirurġija. L-effikaċja tkejjlet permezz tal-valutazzjoni tal-pazjenti ta' kemm il-fsada kienet ikkontrollata, u bl-għadd ta' episodji ta' fsada li seħħew waqt li kienu qed jirċievu l-medicina.

Sa fejn kienet waslet l-evalwazzjoni tal-applikazzjoni qabel ma din giet irtirata?

L-applikazzjoni giet irtirata wara li s-CHMP kien evalwa d-dokumentazzjoni pprovduta mill-kumpanija u fformula lista ta' mistoqsijiet. Wara li s-CHMP kien ivvaluta t-tweġibiet tal-kumpanija għall-añhar rawnd ta' mistoqsijiet, kien għad fadal xi kwistjonijiet pendenti.

X'kienet ir-rakkomandazzjoni tas-CHMP dak iż-żmien?

Abbażi tar-reviżjoni tad-dejta u t-tweġibiet tal-kumpanija għal-listi ta' mistoqsijiet tas-CHMP, fiż-żmien tal-irtirar is-CHMP kellu xi tħassib u kien tal-fehma provviżorja li IXinity ma setax jiġi approvat għall-prevenzjoni u l-kura ta' episodji ta' fsada f'pazjenti bl-emofilja B.

Għalkemm l-istudji kienu wrew evidenza tal-effikaċja ta' IXinity, kienu wrew ukoll li l-pazjenti żviluppaw livell għoli mhux mistenni ta' antikorpi kontra l-proteini miċ-ċelluli użati biex jagħmlu IXinity, li kienu wkoll jinsabu fil-medicina. Il-kumpanija rfinat il-proċess tal-manifattura għal IXinity biex jitneħħew dawn il-proteini, iżda ma kienx ċar jekk il-medicina rfinuta kinitx se taġixxi bl-istess mod bħall-prodott oriġinali fl-istudji, u s-CHMP irrakkomanda studju ulterjuri fuq pazjenti.

Għalhekk, fiż-żmien tal-irtirar, is-CHMP kien tal-fehma li abbażi tad-dejta attwalment disponibbli l-bilanċ tal-benefiċċju u r-riskji tal-prodott irfinat ta' IXinity kien negattiv.

X'kienu r-raġunijiet mogħtija mill-kumpanija għall-irtirar tal-applikazzjoni?

Fl-ittra tagħha li tgharraf lill-Aġenzija bl-irtirar tal-applikazzjoni, il-kumpanija ddikjarat li d-deċiżjoni tagħha li tirtira l-applikazzjoni kienet ibbażata fuq il-fatt li d-dejta addizzjonali meħtieġa biex tindirizza t-tħassib tas-CHMP ma setgħetx issir disponibbli fiż-żmien regolatorju. Il-kumpanija esprimiet l-intenzjoni tagħha li terġa' tapplika għall-awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq ladarba d-dejta tkun disponibbli.

L-ittra tal-irtirar hija disponibbli [hawn](#).

X'inhuma l-konsegwenzi ta' dan l-irtirar għall-pazjenti fi provi kliniċi?

Il-kumpanija għarrfet lis-CHMP li l-pazjenti li attwalment jinsabu għaddejjin minn provi kliniċi se jkomplu jirċievu IXinity u se jinqalbu għall-prodott irfinut ladarba r-regoli riveduti għat-tweġiq tal-provi jkunu ġew approvati.

Jekk inti qed tieħu sehem fi prova klinika u teħtieġ aktar informazzjoni dwar il-kura tiegħek, ikkuntattja lit-tabib li jkun qed jagħtik il-kura.