

21 juli 2017
EMA/440995/2017
EMA/H/C/003934

Vragen en antwoorden

Intrekking van de aanvraag van een vergunning voor het in de handel brengen van Infinia (alfa-1-antitrypsine)

Op 21 juni 2017 heeft Kamada BioPharma Limited het Comité voor geneesmiddelen voor menselijk gebruik (CHMP) officieel op de hoogte gebracht van haar beslissing haar aanvraag van een vergunning voor het in de handel brengen van Infinia in te trekken. Infinia was bedoeld voor de behandeling van volwassenen met longziekte als gevolg van congenitale deficiëntie van alfa-1-antitrypsine

Wat is Infinia?

Infinia is een geneesmiddel dat de werkzame stof alfa-1-antitrypsine (ook wel alfa₁-proteïnaseremmer genoemd) bevat. Het middel had verkrijgbaar moeten worden als oplossing voor inhalatie.

Voor welke behandeling was Infinia bedoeld?

Het geneesmiddel zou worden gebruikt voor de behandeling van longziekte bij volwassenen met congenitale (aangeboren) deficiëntie van alfa-1-antitrypsine. Een tekort aan dit enzym kan schade aan de longen (zoals emfyseem en luchtwegobstructie) veroorzaken, wat leidt tot ademhalingsproblemen.

Infinia werd op 16 november 2004 voor de behandeling van emfyseem als gevolg van congenitale alfa-1-antitrypsine-deficiëntie aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame ziekten). Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel vindt u [hier](#).

Andere geneesmiddelen die alfa-1-antitrypsine bevatten zijn in de EU voor dezelfde ziekte goedgekeurd, maar worden toegediend via infusie (indruppeling) in een ader.

Hoe werkt Infinia?

De werkzame stof in Infinia, alfa-1-antitrypsine, is een eiwit in het bloed dat longweefsel tegen beschadiging beschermt. Het is afkomstig uit menselijk bloed en was bedoeld om het ontbrekende eiwit in de longen van patiënten met alfa-1-antitrypsine-deficiëntie te vervangen.

Welke documentatie heeft de firma ingediend als ondersteuning van de aanvraag?

De firma diende resultaten in van een hoofdstudie bij 168 patiënten waarbij werd gekeken naar de effecten van het geneesmiddel op exacerbaties (plotselinge verergeringen van symptomen) van de ziekte. Het geneesmiddel werd vergeleken met een placebo (schijnbehandeling) en de belangrijkste maatstaf voor de werkzaamheid was de duur van de periode waarin patiënten geen exacerbatie hadden.

In welke beoordelingsfase werd de aanvraag ingetrokken?

De firma trok de aanvraag in nadat het CHMP de door de firma overgelegde documentatie had beoordeeld en een lijst met vragen had opgesteld. Nadat het CHMP de antwoorden van de firma op de laatste reeks vragen had beoordeeld, waren er toch nog onopgeloste punten.

Wat was de aanbeveling van het CHMP op dat moment?

Op basis van de bestudering van de gegevens had het Comité op het ogenblik van de intrekking enkele bedenkingen en was het de voorlopige mening toegedaan dat Infinia voor de behandeling van volwassenen met longziekte als gevolg van congenitale deficiëntie van alfa-1-antitrypsine niet kon worden goedgekeurd.

Het Comité was van mening dat de studie de gunstige effecten in de bestudeerde populatie niet had aangetoond. Daarnaast waren er bedenkingen over de verdraagbaarheid en het veiligheidsprofiel van het geneesmiddel, aangezien patiënten die Infinia gebruikten vaker als gevolg van bijwerkingen met de behandeling moesten stoppen dan patiënten die een placebo gebruikten. Er waren ook bedenkingen dat patiënten die Infinia gebruiken hiertegen antilichamen kunnen produceren, wat de effecten van het middel zou kunnen verminderen of patiënten vatbaarder voor allergische reacties zou kunnen maken.

Daarom was het CHMP op het ogenblik van de intrekking van mening dat de voordelen van Infinia niet opwogen tegen de risico's ervan.

Welke redenen gaf de firma voor het intrekken van de aanvraag?

In de brief waarin de firma het Geneesmiddelenbureau op de hoogte brengt van de intrekking van de aanvraag, stelde de firma dat deze meer tijd nodig had om aanvullende informatie te verzamelen waar het CHMP in verband met deze aanvraag om had verzocht.

De intrekkingsbrief is [hier](#) te vinden.

Welke gevolgen heeft de intrekking voor patiënten die deelnemen aan klinische proeven of het geneesmiddel met speciale toestemming krijgen toegediend?

De firma deelde het CHMP mee dat er geen gevolgen zijn voor patiënten die momenteel deelnemen aan klinische proeven met Infinia, noch voor patiënten die het geneesmiddel met speciale toestemming krijgen toegediend.

Indien u deelneemt aan een klinische proef of het geneesmiddel met speciale toestemming krijgt en meer informatie wenst over uw behandeling, neemt u dan contact op met uw behandelend arts.