

27 juni 2013
EMA/442984/2013
EMA/H/C/002349

Vragen en antwoorden

Intrekking van de aanvraag van een vergunning voor het in de handel brengen van IXinity (trenonacog-alfa)

Op 13 juni 2013 heeft Cangene Europe Ltd. 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 IXinity in te trekken. IXinity was bedoeld voor de behandeling en preventie van bloedingen bij patiënten met hemofilie B.

Wat is IXinity?

IXinity is een geneesmiddel dat de werkzame stof trenonacog-alfa (recombinante humane factor IX) bevat. Verwacht werd dat het beschikbaar zou zijn als een poeder en oplosmiddel om een oplossing voor injectie te bereiden (500, 1 000 en 1 500 eenheden).

Voor welke behandeling was IXinity bedoeld?

Verwacht werd dat IXinity zou worden gebruikt voor de preventie en behandeling van bloedingsepisoden bij patiënten vanaf de leeftijd van 12 jaar met hemofilie B (een erfelijke bloedingsstoornis die wordt veroorzaakt door een gebrek aan factor IX).

Hoe werd verwacht dat IXinity zou werken?

Patiënten met hemofilie B hebben onvoldoende factor IX, een eiwit in het bloed dat helpt om het bloed normaal te laten stollen. Dit veroorzaakt problemen met de bloedstolling, leidend tot bloedingen in de gewrichten, spieren en inwendige organen. De werkzame stof in IXinity, trenonacog-alfa, is een vorm van humane factor IX die de ontbrekende factor IX in het bloed vervangt, waarmee de bloedingsstoornis tijdelijk wordt beheerst.

De werkzame stof in IXinity wordt geproduceerd met behulp van een methode die bekendstaat als 'recombinant DNA-technologie': hij wordt gemaakt door cellen waarin een gen (DNA) is ingebracht dat hen in staat stelt de stollingsfactor te produceren.

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

De firma diende de resultaten in van onderzoeken onder 42 patiënten met matige tot ernstige hemofilie B, die IXinity kregen voor de behandeling of preventie van bloedingen. Onder hen bevond zich een aantal patiënten dat een chirurgische ingreep onderging. De effectiviteit werd gemeten aan de hand van de beoordeling van de patiënten van de mate van beheersing van de bloedingen, en aan de hand van het aantal bloedingsepisoden dat optrad terwijl de patiënten het geneesmiddel kregen.

In welke beoordelingsfase werd de aanvraag ingetrokken?

De firma trok de aanvraag in nadat het CHMP de door de firma verstrekte documentatie had bestudeerd en de firma een vragenlijst had voorgelegd. Nadat het CHMP de antwoorden van de firma op de laatste ronde van 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 informatie en het antwoord van de firma op de vragenlijsten van het CHMP, had het Comité op het ogenblik van de intrekking enkele bedenkingen en was het de voorlopige mening toegedaan dat IXinity voor de preventie en behandeling van bloedingsepisoden bij patiënten met hemofilie B niet kon worden goedgekeurd.

Hoewel de onderzoeken aanwijzingen gaven voor de effectiviteit van IXinity, toonden ze ook aan dat patiënten een onverwacht hoog niveau van antilichamen ontwikkelden tegen eiwitten van de voor het maken van IXinity gebruikte cellen, eiwitten die ook aanwezig waren in het geneesmiddel. De firma verbeterde het vervaardigingsproces voor IXinity zodat deze eiwitten konden worden verwijderd, maar het was onduidelijk of het verbeterde geneesmiddel op dezelfde manier zou werken als het oorspronkelijke product in de onderzoeken, en het CHMP deed de aanbeveling voor verder onderzoek bij patiënten.

Daarom was het CHMP op het ogenblik van de intrekking van mening dat op basis van de op dat moment beschikbare gegevens de baten/risicoverhouding van het verbeterde IXinity-product negatief was.

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

In haar brief waarin het Geneesmiddelenbureau op de hoogte wordt gebracht van de intrekking van de aanvraag, verklaarde de firma dat haar beslissing om de aanvraag in te trekken gebaseerd was op het feit dat de aanvullende gegevens die nodig waren om de bedenkingen van het CHMP weg te nemen, niet binnen de voorgeschreven termijn beschikbaar konden komen. De firma gaf aan dat het haar bedoeling was om, zodra de gegevens beschikbaar waren, opnieuw een aanvraag in te dienen voor een vergunning voor het in de handel brengen.

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

Welke gevolgen heeft de intrekking voor patiënten die deelnemen aan klinische proeven?

De firma heeft het CHMP laten weten dat patiënten die momenteel zijn opgenomen in klinische proeven IXinity zullen blijven krijgen en zullen overgaan op het verbeterde product, zodra gewijzigde regels voor de uitvoering van de proeven zijn goedgekeurd.

Als u deelneemt aan een klinische proef en meer informatie nodig hebt over uw behandeling, neem dan contact op met de arts die u het middel geeft.