

27 czerwca 2013 r.
EMA/442985/2013
EMA/H/C/002349

Pytania i odpowiedzi

Wycofanie wniosku o dopuszczenie do obrotu produktu IXinity (trenonakog alfa)

W dniu 13 czerwca 2013 r. firma Cangene Europe Ltd. oficjalnie powiadomiła Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) o zamiarze wycofania wniosku o dopuszczenie do obrotu produktu leczniczego IXinity, który miał być stosowany w leczeniu i zapobieganiu krwawieniom u pacjentów z hemofilią B.

Co to jest lek IXinity?

Produkt IXinity jest lekiem zawierającym substancję czynną o nazwie trenonakog alfa (rekombinowany ludzki czynnik IX). Miał on być dostępny w postaci proszku i rozpuszczalnika do sporządzania roztworu do wstrzykiwań (500, 1000 i 1500 jednostek).

W jakim celu miał być stosowany lek IXinity?

Lek IXinity miał być stosowany w leczeniu i zapobieganiu epizodom krwawienia u pacjentów w wieku co najmniej 12 lat cierpiących na hemofilię B (wywołane przez brak czynnika IX krzepnięcia, dziedziczne zaburzenie związane z krwawieniem).

Jakie jest oczekiwane działanie leku IXinity?

U pacjentów z hemofilią B występuje niewystarczająca ilość czynnika IX — białka, które umożliwia prawidłowe krzepnięcie krwi. Powoduje to zaburzenia krzepnięcia krwi, prowadząc do występowania krwawień w stawach, mięśniach i narządach wewnętrznych. Substancja czynna leku IXinity, trenonakog alfa, to postać ludzkiego czynnika IX, która zastępuje brakujący czynnik IX we krwi, tymczasowo łagodząc zaburzenia związane z krwawieniem.

Substancja czynna leku IXinity jest produkowana metodą znaną jako technologia rekombinacji DNA. Jest ona wytwarzana przez komórki, do których wprowadzono gen (DNA) umożliwiający produkcję pożądanego czynnika krzepnięcia.

Jaka dokumentacja została przedstawiona przez firmę na poparcie wniosku?

Firma przedstawiła wyniki badań z udziałem 42 pacjentów z umiarkowaną lub ciężką postacią hemofilii B, którym podawano lek IXinity w celu leczenia lub zapobiegania krwawieniom i wśród których byli pacjenci poddawani zabiegom chirurgicznym. Skuteczność mierzono na podstawie dokonywanej przez pacjentów oceny złagodzenia krwawień, a także na podstawie liczby epizodów krwawienia występujących w czasie przyjmowania leku.

Na jakim etapie znajdowała się ocena w momencie wycofania wniosku?

Wniosek został wycofany po przeprowadzeniu przez CHMP oceny dokumentacji przedłożonej przez firmę i sformułowaniu listy pytań. Po tym, jak CHMP ocenił odpowiedzi firmy na ostatnią serię pytań, kilka kwestii pozostało nierozwiązanych.

Jakie zalecenia wydał wówczas CHMP?

Na podstawie wykonanego przeglądu danych i odpowiedzi firmy na postawione pytania, w chwili wycofania wniosku CHMP zgłosił zastrzeżenia i jego wstępna opinia wskazywała, że lek IXinity może nie zostać zatwierdzony do użytku w zapobieganiu i leczeniu epizodów krwawienia u pacjentów z hemofilią B.

Choć w badaniach uzyskano dowody na skuteczność leku IXinity, wykazano w nich również, że u pacjentów zaobserwowano nieoczekiwane wysokie stężenia przeciwciał przeciwko białkom pochodzącym z komórek używanych do produkcji leku IXinity, które również były obecne w tym leku. Firma udoskonaliła proces produkcji leku w celu usunięcia tych białek, jednak nie było wiadomo, czy oczyszczony lek działałby w ten sam sposób, jak produkt oryginalny użyty w badaniach, zatem CHMP zalecił przeprowadzenie dalszych badań z udziałem pacjentów.

W związku z tym w momencie wycofania wniosku CHMP był zdania, iż na podstawie dostępnych na tym etapie danych stosunek korzyści do ryzyka stosowania oczyszczonego produktu IXinity był niekorzystny.

Jakie przyczyny wycofania wniosku podała firma?

W swoim piśmie powiadamiającym Agencję o wycofaniu wniosku firma oświadczyła, że wycofanie wniosku jest spowodowane tym, iż dodatkowe dane, które umożliwiłyby rozwianie wątpliwości CHMP, nie byłyby dostępne w przewidzianym terminie. Firma wyraziła zamiar ponownego złożenia wniosku o dopuszczenie do obrotu po uzyskaniu tych danych.

Pismo powiadamiające o wycofaniu wniosku jest dostępne [tutaj](#).

Jakie są skutki wycofania dla pacjentów uczestniczących w badaniach klinicznych?

Firma poinformowała CHMP, że pacjenci obecnie uczestniczący w badaniach klinicznych będą nadal otrzymywać lek IXinity w jego obecnej postaci, a po zatwierdzeniu zmienionych zasad prowadzenia badań klinicznych rozpoczną przyjmowanie oczyszczonego produktu.

Uczestnicy badań klinicznych, którzy potrzebują więcej informacji na temat przyjmowanego leczenia, powinni skontaktować się z lekarzem prowadzącym leczenie.