



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

27 de junho de 2013
EMA/442986/2013
EMA/H/C/002349

Perguntas e respostas

Retirada do pedido de Autorização de Introdução no Mercado para IXinity (trenonacog alfa)

Em 13 de junho de 2013, a Cangene Europe Ltd. notificou oficialmente o Comité dos Medicamentos para Uso Humano (CHMP) da sua decisão de retirar o pedido de Autorização de Introdução no Mercado para o medicamento IXinity, para o tratamento e prevenção de hemorragias em doentes com hemofilia B.

O que é o IXinity?

O IXinity é um medicamento que contém a substância ativa trenonacog alfa (fator IX recombinante humano). Deveria ser disponibilizado sob a forma de um pó e solvente para reconstituição numa solução injetável (500, 1000 e 1500 unidades).

Qual a utilização prevista para o IXinity?

O IXinity deveria ser utilizado para a prevenção e o tratamento de episódios de hemorragia em doentes com idade igual ou superior a 12 anos que sofrem de hemofilia B (uma doença hemorrágica hereditária causada pela falta de fator IX).

Como deveria funcionar o IXinity?

Os doentes com hemofilia B não possuem níveis suficientes de fator IX, uma proteína do sangue que contribui para a sua coagulação normal. Isto causa problemas a nível da coagulação sanguínea, que resultam em hemorragias nas articulações, músculos e órgãos internos. A substância ativa do IXinity, o trenonacog alfa, é uma forma de fator IX humano que substitui o fator IX em falta no sangue e que controla temporariamente a doença hemorrágica.

A substância ativa do IXinity é produzida por meio de um método denominado “tecnologia de ADN recombinante”: é criada por células nas quais foi introduzido um gene (ADN) que as torna capazes de produzir o fator de coagulação.



Que documentação foi apresentada pela empresa a acompanhar o pedido?

A empresa apresentou os resultados de estudos que incluíram 42 doentes com hemofilia B moderada ou grave que receberam o IXinity para o tratamento ou prevenção de hemorragias, incluindo alguns doentes sujeitos a cirurgia. A eficácia foi medida através da avaliação efetuada pelos doentes relativamente ao grau de controlo das hemorragias e com base no número de episódios de hemorragia que ocorreram enquanto os doentes estavam a receber o medicamento.

Qual o estado de adiantamento do processo de avaliação do pedido quando este foi retirado?

O pedido foi retirado depois de o CHMP ter avaliado a documentação fornecida pela empresa e formulado listas de perguntas. Após a avaliação, pelo CHMP, das respostas apresentadas pela empresa à última ronda de perguntas, subsistiam algumas questões.

Qual era a recomendação do CHMP no momento da retirada?

Com base na análise dos dados e da resposta da empresa às listas de perguntas do CHMP, no momento da retirada, o CHMP tinha algumas questões, sendo de parecer que o IXinity para a prevenção e o tratamento de episódios de hemorragia em doentes com hemofilia B não podia ser aprovado.

Apesar de terem demonstrado evidência da eficácia do IXinity, os estudos também revelaram que os doentes desenvolveram um nível inesperadamente elevado de anticorpos contra as proteínas das células utilizadas para o fabrico do IXinity, que também estavam presentes no medicamento. A empresa refinou o processo de fabrico do IXinity por forma a remover essas proteínas mas não ficou claro se o medicamento refinado funcionaria da mesma forma que o medicamento original nos estudos, tendo o CHMP recomendado estudos adicionais em doentes.

Por conseguinte, no momento da retirada, o CHMP considerava que, com base nos dados atualmente disponíveis, a relação risco-benefício do medicamento IXinity refinado era negativa.

Quais as razões invocadas pela empresa para retirar o pedido?

Na sua carta a notificar a Agência da retirada do pedido, a empresa declarou que a sua decisão de retirar o pedido se baseava no facto de não ser possível disponibilizar os dados adicionais necessários para responder às questões do CHMP dentro do prazo regulamentar. A empresa manifestou a sua intenção de apresentar novamente o pedido de Autorização de Introdução no Mercado, assim que os dados estejam disponíveis.

A carta de retirada está disponível [aqui](#).

Quais as consequências da retirada do pedido para os doentes incluídos em ensaios clínicos?

A empresa informou o CHMP de que os doentes atualmente incluídos em ensaios clínicos continuariam a receber o IXinity e mudariam para o medicamento refinado após a aprovação das regras revistas para a realização dos ensaios.

Se estiver incluído num ensaio clínico e necessitar de informação adicional sobre o tratamento, contacte o médico que lhe receitou o IXinity.