



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

27 iunie 2013
EMA/379048/2013
EMA/H/C/002349

Întrebări și răspunsuri

Retragerea cererii de autorizare de introducere pe piață pentru IXinity (trenonacog alfa)

La data de 13 iunie 2013, Cangene Europe Ltd. a informat oficial Comitetul pentru medicamente de uz uman (CHMP) că dorește să își retragă cererea de autorizare de introducere pe piață pentru IXinity, pentru tratamentul și prevenirea hemoragiilor la pacienții cu hemofilie B.

Ce este IXinity?

IXinity este un medicament care conține substanța activă trenonacog alfa (factor uman recombinant IX). Medicamentul urma să fie disponibil sub formă de pulbere și solvent care se amestecă pentru a forma o soluție injectabilă (500, 1 000 și 1 500 de unități).

Pentru ce ar fi trebuit să se utilizeze IXinity?

IXinity ar fi trebuit să se utilizeze pentru prevenirea și tratarea episoadelor hemoragice la pacienții în vârstă de cel puțin 12 ani cu hemofilie B (o tulburare hemoragică ereditară cauzată de lipsa factorului IX).

Cum ar trebui să acționeze IXinity?

Pacienții cu hemofilie B nu prezintă niveluri suficiente de factor IX, o proteină din sânge care ajută la coagularea normală a acestuia. Acest lucru cauzează probleme de coagulare a sângelui, ducând la hemoragii la nivelul articulațiilor, mușchilor și organelor interne. Substanța activă din IXinity, trenonacog alfa, este o formă a factorului IX care înlocuiește factorul IX ce lipsește din sânge, controlând temporar tulburarea hemoragică.

Substanța activă din IXinity este obținută printr-o metodă cunoscută sub denumirea de „tehnologia ADN-ului recombinant”: este obținută din celule care au primit o genă (ADN), care le face capabile să producă factorul de coagulare.



Ce documentație a prezentat compania în sprijinul cererii sale?

Compania a prezentat rezultatele studiilor care au implicat 42 de pacienți cu hemofilie B moderată sau severă, cărora li s-a administrat IXinity pentru tratarea sau prevenirea hemoragiilor, inclusiv o serie de pacienți supuși operațiilor chirurgicale. Eficacitatea a fost măsurată prin evaluarea pacienților cu privire la cât de bine a fost controlată hemoragia și prin numărul de episoade hemoragice care au apărut în timpul administrării medicamentului.

În ce stadiu se afla evaluarea în momentul retragerii cererii?

Cererea a fost retrasă după ce CHMP finalizase evaluarea documentației prezentate de companie și formulase liste de întrebări. După evaluarea de către CHMP a răspunsurilor companiei la ultima rundă de întrebări, mai rămăseseră încă unele probleme nerezolvate.

Care a fost recomandarea CHMP în momentul respectiv?

Pe baza analizării datelor și a răspunsului companiei la listele de întrebări ale CHMP, în momentul retragerii cererii, CHMP avea unele motive de îngrijorare și a emis un aviz provizoriu potrivit căruia IXinity nu putea fi aprobat pentru prevenirea și tratamentul episoadelor hemoragice la pacienții cu hemofilie B.

Deși studiile indicaseră dovezi ale eficacității IXinity, acestea au mai arătat că pacienții au dezvoltat un nivel neașteptat de ridicat de anticorpi la proteinele din celulele utilizate în compoziția IXinity, care erau prezente, de asemenea, în medicament. Compania a îmbunătățit procesul de fabricație al IXinity pentru a îndepărta aceste proteine, însă nu a fost clar dacă medicamentul purificat va prezenta același mecanism de acțiune ca produsul inițial din studii, iar CHMP a recomandat efectuarea de studii suplimentare pe pacienți.

Prin urmare, la momentul retragerii cererii, în opinia CHMP, pe baza datelor disponibile în prezent, raportul dintre beneficii și riscuri al produsului IXinity purificat a fost negativ.

Care au fost motivele invocate de companie pentru retragerea cererii?

În scrisoarea prin care înștiința agenția cu privire la retragerea cererii, compania afirma că decizia sa de retragere a cererii se baza pe faptul că datele suplimentare solicitate pentru a răspunde motivelor de îngrijorare exprimate de CHMP nu puteau fi puse la dispoziție în intervalul de timp stabilit. Compania și-a exprimat intenția de a depune o nouă cerere de autorizare de introducere pe piață de îndată ce datele vor fi disponibile.

Scrisoarea de retragere a cererii este disponibilă [aici](#).

Care sunt consecințele retragerii cererii pentru pacienții implicați în studii clinice?

Compania a informat CHMP că pacienții incluși în prezent în studii clinice vor primi în continuare IXinity și vor fi trecuți pe produsul purificat din momentul în care vor fi aprobate normele revizuite pentru efectuarea studiilor.

Dacă participați la un studiu clinic și aveți nevoie de informații suplimentare despre tratamentul dumneavoastră, adresați-vă medicului care vă administrează acest medicament.