

27. júna 2013
EMA/442988/2013
EMA/H/C/002349

Otázky a odpovede

Stiahnutie žiadosti o povolenie na uvedenie na trh pre liek IXinity (trenonacog alfa)

Dňa 13. júna 2013 spoločnosť Cangene Europe Ltd. oficiálne oznámila Výboru pre lieky na humánne použitie (CHMP) rozhodnutie stiahnuť svoju žiadosť o povolenie na uvedenie na trh pre liek IXinity, ktorý sa mal používať na liečbu a prevenciu krvácania u pacientov s hemofíliou B.

Čo je liek IXinity?

Liek IXinity obsahuje účinnú látku trenonacog alfa (rekombinantný ľudský faktor IX). Liek mal byť dostupný vo forme prášku a rozpúšťadla, z ktorého sa má pripraviť injekčný roztok (500, 1 000 a 1 500 jednotiek).

Aké bolo predpokladané použitie lieku IXinity?

Liek IXinity sa mal používať na prevenciu a liečbu epizód krvácania u pacientov minimálne vo veku 12 rokov s hemofíliou B (dedičná porucha krvácania zapríčinená nedostatkom faktora IX).

Akým spôsobom by mal liek IXinity účinkovať?

Pacienti s hemofíliou B majú nedostatočnú hladinu faktora IX, proteínu v krvi, ktorý podporuje normálnu zrážanlivosť. To spôsobuje problémy so zrážanlivosťou krvi, čo vedie ku krvácaniu v kĺboch, svaloch a vnútorných orgánoch. Účinná látka lieku IXinity, trenonacog alfa, je forma ľudského faktora IX, ktorá nahrádza chýbajúci faktor IX v krvi, a poskytuje dočasnú kontrolu nad poruchou krvácania.

Účinná látka lieku IXinity sa vyrába tzv. technológiou rekombinantnej DNA: vyrábajú ju bunky, do ktorých bol vložený gén (DNA), a preto môže produkovať daný koagulačný faktor.

Akou dokumentáciou podložila spoločnosť svoju žiadosť?

Spoločnosť predložila výsledky štúdií, na ktorých sa zúčastnilo 42 pacientov s miernou alebo vážnou formou hemofílie B, ktorým bol podávaný liek IXinity na liečbu alebo prevenciu krvácania, vrátane niektorých pacientov počas chirurgického zákroku. Účinnosť sa merala podľa hodnotenia kontroly krvácania pacientmi, ako aj podľa počtu epizód krvácania, ktoré nastali počas podávania lieku.

V akej fáze hodnotenia bola žiadosť v čase stiahnutia?

Žiadosť bola stiahnutá po tom, ako výbor CHMP vyhodnotil dokumentáciu, ktorú spoločnosť predložila, a sformuloval zoznam otázok. Po preskúmaní odpovedí spoločnosti na poslednú sériu otázok výborom CHMP ešte stále zostali niektoré otázky nevyriešené.

Aké bolo v tom čase odporúčanie výboru CHMP?

Na základe preskúmania údajov a odpovedí spoločnosti na zoznamy otázok výboru CHMP mal výbor CHMP v čase stiahnutia žiadosti určité výhrady a dospel k predbežnému stanovisku, že liek IXinity nemôže byť povolený na liečbu a prevenciu epizód krvácania u pacientov s hemofiliou B.

Aj keď štúdie preukázali účinnosť lieku IXinity, zároveň sa zistilo, že sa u pacientov vytvorila nečakane vysoká hladina protilátok proti proteínom pochádzajúcim z buniek použitých na výrobu lieku IXinity, ktoré boli tiež prítomné v lieku. Spoločnosť upravila výrobný postup pre liek IXinity s cieľom odstrániť tieto proteíny, nebolo však jasné, či by takto upravený liek pôsobil v štúdiách rovnako ako pôvodný liek, preto výbor CHMP odporučil vykonať ďalšiu štúdiu na pacientoch.

Výbor CHMP preto v čase stiahnutia žiadosti zastával názor, že vzhľadom na v súčasnosti dostupné údaje je pomer prínosu a rizík upraveného lieku IXinity negatívny.

Aké dôvody na stiahnutie žiadosti uviedla spoločnosť?

Spoločnosť vo svojom liste, v ktorom agentúre oznámila stiahnutie žiadosti, uviedla, že sa rozhodla stiahnuť žiadosť, pretože v regulačnom časovom rámci nedokázala poskytnúť ďalšie údaje potrebné na vyvrátenie obáv výboru CHMP. Spoločnosť vyjadrila svoj zámer opätovne požiadať o povolenie na uvedenie lieku na trh potom, ako bude mať k dispozícii potrebné údaje.

List týkajúci sa stiahnutia žiadosti je k dispozícii [tu](#).

Aké sú dôsledky stiahnutia žiadosti pre pacientov, ktorí sa zúčastňujú na klinických skúšaniach?

Spoločnosť informovala výbor CHMP, že pacienti, ktorí sa v súčasnosti zúčastňujú na klinických skúšaniach, budú aj naďalej dostávať liek IXinity a prejdú na upravený liek, len čo sa schvália revidované pravidlá na vykonávanie týchto skúšaní.

Ak ste však účastníkom klinického skúšania a potrebujete viac informácií o svojej liečbe, obráťte sa na svojho ošetrojúceho lekára.