



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

21. julij 2017
EMA/440995/2017
EMA/H/C/003934

Vprašanja in odgovori

Umik vloge za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Infinia (antitripsin alfa-1)

Družba Kamada BioPharma Limited je dne 21. junija 2017 uradno obvestila Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP), da želi umakniti vlogo za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Infinia, namenjenim za zdravljenje odraslih s pljučno boleznijo, ki je posledica prirojenega pomanjkanja antitripsina alfa-1.

Kaj je zdravilo Infinia?

Infinia je zdravilo, ki vsebuje zdravilno učinkovino antitripsin alfa-1 (znan tudi kot zaviralec proteinaze alfa₁). Na voljo naj bi bilo v obliki raztopine za inhaliranje.

Za kaj naj bi se zdravilo Infinia uporabljalo?

Zdravilo naj bi se uporabljalo za zdravljenje pljučne bolezni pri odraslih s kongenitalnim (prirojenim) pomanjkanjem antitripsina alfa-1. Pomanjkanje tega encima lahko povzroči poškodbe pljuč (kot sta emfizem in zapora dihalnih poti), ki privedejo do težav z dihanjem.

Zdravilo Infinia je bilo 16. novembra 2004 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni) za zdravljenje emfizema, ki je posledica prirojenega pomanjkanja antitripsina alfa-1. Več informacij o zdravilih sirotah je na voljo [tukaj](#).

Za isto bolezen so v EU odobrena tudi druga zdravila, ki vsebujejo antitripsin alfa-1, vendar se dajejo z infundiranjem (kapalno infuzijo) v veno.



Kako zdravilo Infinia deluje?

Zdravilna učinkovina v zdravilu Infinia, antitripsin alfa-1, je beljakovina v krvi, ki pljučno tkivo ščiti pred poškodbo. Pridobiva se iz človeške krvi in naj bi nadomestila manjkajočo beljakovino v pljučih bolnikov s pomanjkanjem antitripsina alfa-1.

Katero dokumentacijo je družba predložila v podporo svoji vlogi?

Družba je predstavila rezultate glavne študije pri 168 bolnikih o učinkih zdravila na izbruhe (nenadna poslabšanja simptomov) bolezni. Zdravilo so primerjali s placebom (zdravilom brez zdravilne učinkovine), glavno merilo učinkovitosti pa je bilo trajanje obdobja, v katerem bolniki niso doživeli izbruha.

Kako daleč je bil postopek ocenjevanja vloge ob njenem umiku?

Vloga je bila umaknjena po tem, ko je odbor CHMP že ocenil dokumentacijo, ki jo je predložila družba, in oblikoval seznam vprašanj. Potem ko je odbor CHMP ocenil odgovore družbe na zadnji sklop vprašanj, so nekatera vprašanja še vedno ostala nerešena.

Kakšno je bilo takrat priporočilo odbora CHMP?

Odbor CHMP je na podlagi pregleda podatkov ob umiku vloge izrazil določene zadržke in je začasno menil, da zdravila Infinia ni mogoče odobriti za zdravljenje odraslih s pljučno boleznijo, ki je posledica prirojenega pomanjkanja antitripsina alfa-1.

Odbor je presodil, da s študijo pri proučevani populaciji niso dokazali koristnih učinkov. Poleg tega so obstajali pomisleki o prenašanju zdravila in njegovem varnostnem profilu, saj so morali bolniki, ki so jemali zdravilo Infinia, zaradi neželenih učinkov pogosteje prekiniti zdravljenje kot bolniki, ki so jemali placebo. Obstajali so tudi pomisleki, da se pri bolnikih, ki jemljejo zdravilo Infinia, lahko pojavijo protitelesa proti zdravilu, kar bi zmanjšalo njegove učinke ali pa bi bolniki postali dovzetnejši za alergijske reakcije.

Zato je odbor CHMP ob umiku vloge menil, da koristi zdravila Infinia ne odtehtajo z njim povezanih tveganj.

Kakšni so bili razlogi družbe za umik vloge?

Družba je v dopisu, s katerim je agencijo obvestila o umiku vloge, navedla, da potrebuje več časa za zbiranje dodatnih informacij, ki jih je odbor CHMP zahteval v povezavi s to vlogo.

Dopis o umiku vloge je na voljo [tukaj](#).

Kakšne so posledice umika vloge za bolnike, ki sodelujejo v kliničnih preskušanjih ali programih sočutne uporabe zdravila?

Družba je odbor CHMP obvestila, da umik nima nobenih posledic za bolnike, ki trenutno sodelujejo v kliničnih preskušanjih ali programih sočutne uporabe zdravila Infinia.

Če ste vključeni v klinično preskušanje ali program sočutne uporabe in potrebujete več informacij o zdravljenju, se obrnite na zdravnika, ki vam je predpisal zdravljenje.