

27. junij 2013  
EMA/442989/2013  
EMA/H/C/002349

## Vprašanja in odgovori

---

# Umik vloge za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom IXinity (trenonakog alfa)

Družba Cangene Europe Ltd. je dne 13. junija 2013 uradno obvestila Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP), da želi umakniti vlogo za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom IXinity, namenjenim zdravljenju in preprečevanju krvavitev pri bolnikih s hemofilijo B.

## Kaj je zdravilo IXinity?

IXinity je zdravilo, ki vsebuje zdravilno učinkovino trenonakog alfa (rekombinantni humani faktor IX). Na voljo naj bi bilo v obliki praška in vehikla za pripravo raztopine za injiciranje (500, 1000 in 1500 enot).

## Za kaj naj bi se zdravilo IXinity uporabljalo?

Zdravilo IXinity naj bi se uporabljalo za preprečevanje in zdravljenje krvavitev pri bolnikih, starih najmanj 12 let, s hemofilijo B (dedno motnjo strjevanja krvi zaradi pomanjkanja faktorja IX).

## Kako naj bi zdravilo IXinity delovalo?

Bolniki s hemofilijo B nimajo zadostnih količin faktorja IX, tj. beljakovine v krvi, ki pomaga pri normalnem strjevanju krvi. Posledica so težave s strjevanjem krvi, ki privedejo do krvavitev v sklepe, mišice in notranje organe. Zdravilna učinkovina v zdravilu IXinity, trenonakog alfa, je oblika humanega faktorja IX, ki nadomesti manjkajoči faktor IX v krvi, s čimer omogoča začasno obvladovanje motnje strjevanja krvi.

Zdravilna učinkovina zdravila IXinity se proizvaja z metodo, znano kot „tehnologija rekombinantne DNK“, pri kateri je v celice vstavljen gen (DNK), s pomočjo katerega lahko tvorijo faktor strjevanja krvi.

## **Katero dokumentacijo je družba predložila v podporo svoji vlogi?**

Družba je predložila rezultate študij, v katerih je sodelovalo 42 bolnikov z zmerno ali hudo hemofilijo B, ki so prejeli zdravilo IXinity za zdravljenje ali preprečevanje krvavitve, vključno z nekaj bolniki, pri katerih je bil opravljen operativni poseg. Učinkovitost so merili na podlagi ocene bolnikov o tem, kako dobro so bile nadzorovane krvavitve, in števila krvavitev, ki so se pojavile v času uporabe zdravila.

## **Kako daleč je bil postopek ocenjevanja vloge ob njenem umiku?**

Vlogo so umaknili po tem, ko je CHMP ocenil dokumentacijo, ki mu jo je družba predložila, in oblikoval seznam vprašanj. Potem ko je CHMP ocenil odgovore družbe na zadnja vprašanja, so nekatera vprašanja še vedno ostala nerešena.

## **Kakšno je bilo takrat priporočilo CHMP?**

Na podlagi pregleda podatkov in odgovorov družbe na seznam vprašanj, ki jih je zastavil CHMP, je odbor v času umika izrazil določene zadržke in je začasno menil, da zdravilo IXinity ni mogoče odobriti za preprečevanje in zdravljenje krvavitve pri bolnikih s hemofilijo B.

Čeprav so v študijah pridobili dokaze o učinkovitosti zdravila IXinity, so opazili tudi, da so se pri bolnikih tvorile nepričakovano visoke ravni protiteles proti beljakovinam iz celic, uporabljenih za izdelavo zdravila IXinity, ki so bile prisotne v zdravilu. Družba je izboljšala postopek izdelave zdravila IXinity, da bi odstranila te beljakovine, vendar ni jasno, ali bi izboljšano zdravilo delovalo na enak način, kot je v študijah delovalo originalno zdravilo, zato je CHMP priporočil dodatno študijo pri bolnikih.

Posledično je CHMP v času umika menil, da je na podlagi trenutno razpoložljivih podatkov razmerje med koristmi in tveganji za izboljšano zdravilo IXinity negativno.

## **Kakšni so bili razlogi družbe za umik vloge?**

Družba je v uradnem dopisu, s katerim agencijo obvešča o umiku vloge, navedla, da se je za umik odločila na podlagi dejstva, da v zakonsko predpisanem roku ne more zagotoviti dodatnih podatkov, s katerimi bi lahko odgovorila na zadržke odbora CHMP. Družba je navedla, da namerava ponovno vložiti vlogo za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom, ko bodo ti podatki na voljo.

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

## **Kakšne so posledice umika za bolnike, ki sodelujejo v kliničnih preskušanjih?**

Družba je CHMP obvestila, da bodo bolniki, ki trenutno sodelujejo v kliničnih preskušanjih, še naprej prejeli zdravilo IXinity, po odobritvi spremenjenih pravil za izvedbo preskušanj pa bodo prešli na izboljšano zdravilo.

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