

27 juni 2013
EMA/442990/2013
EMA/H/C/002349

Frågor och svar

Återkallande av ansökan om godkännande för försäljning av IXinity (trenonacog alfa)

Den 13 juni 2013 underrättade Cangene Europe Ltd. officiellt Europeiska läkemedelsmyndighetens kommitté för humanläkemedel (CHMP) om att de önskar återkalla sin ansökan om godkännande för försäljning för IXinity, som var avsett för behandling och förebyggande av blödning hos patienter med hemofili B.

Vad är IXinity?

IXinity är ett läkemedel som innehåller den aktiva substansen trenonacog alfa (rekombinant human faktor IX). Det skulle finnas som ett pulver och en vätska för beredning till en injektionsvätska, lösning (500, 1 000 och 1 500 enheter).

Vad skulle IXinity användas för?

IXinity skulle användas för att förebygga och behandla blödningsepisoder hos patienter som var minst 12 år gamla med hemofili B (ärfdig blödarsjuka som beror på brist på koagulationsfaktor IX).

Hur var det tänkt att IXinity skulle verka?

Patienter med hemofili B har inte tillräckliga nivåer av faktor IX, ett protein i blodet som hjälper det att koagulera normalt. Detta orsakar problem med blodkoagulationen, vilket leder till blödningar i leder, muskler och inre organ. Den aktiva substansen i IXinity, trenonacog alfa, är en form av human faktor IX som ersätter den saknade faktor IX i blodet och tillfälligt kontrollerar blödarsjukan.

Den aktiva substansen i IXinity framställs genom en metod som kallas rekombinant DNA-teknik, vilket innebär att den framställs av celler som har fått en gen (DNA) som gör att de kan producera koagulationsfaktorn.

Vad har företaget lämnat till stöd för sin ansökan?

Företaget lade fram resultaten av studier på 42 patienter med måttlig eller svår hemofili B som fick IXinity för behandling eller förebyggande av blödning, inräknat vissa patienter som genomgick operation. Effekten mättes genom patienternas bedömning av hur väl blödningen kontrollerades och genom antalet blödningsepisoder som inträffade medan de fick läkemedlet.

Hur långt hade utvärderingen kommit när ansökan drogs tillbaka?

Ansökan drogs tillbaka efter att CHMP hade utvärderat den dokumentation som företaget lämnat in och sammanställt en frågelista. Vissa frågetecken kvarstod när CHMP hade utvärderat företagets svar på den sista omgången frågor.

Vad rekommenderade CHMP vid den tidpunkten?

Efter genomgång av de inlämnade uppgifterna och företagets svar på CHMP:s frågelistor vid tiden för återkallandet hyste CHMP vissa betänkligheter och ansåg preliminärt att IXinity inte skulle ha kunnat godkännas för förebyggande och behandling av blödningsepisoder hos patienter med hemofili B.

Även om studierna hade visat på effekten av IXinity hade de också avslöjat att patienter utvecklade oväntat höga halter av antikroppar mot proteiner från de celler som använts för att framställa IXinity, som också fanns i läkemedlet. Företaget förfinade tillverkningsprocessen för IXinity för att avlägsna dessa protein, men det var oklart om det förfinade läkemedlet skulle verka på samma sätt som det ursprungliga läkemedlet i studierna, och CHMP rekommenderade vidare studier av patienter.

Utifrån de för närvarande tillgängliga uppgifterna ansåg därför CHMP vid tiden för återkallandet att nytta-riskförhållandet för den förfinade IXinity-produkten var negativt.

Vilka skäl angav företaget till att dra tillbaka sin ansökan?

I sin skrivelse till myndigheten om återkallandet av ansökan angav företaget att dess beslut att återkalla ansökan baserades på det faktum att de kompletterande data som krävdes för att bemöta CHMP:s betänkligheter inte kunde göras tillgängliga inom den fastställda tidsramen. Företaget uttryckte sin avsikt att på nytt ansöka om godkännande för försäljning när uppgifterna väl fanns tillgängliga.

Skrivelsen om återkallandet finns [här](#).

Vilka följder får återkallandet för patienter i kliniska prövningar?

Företaget informerade CHMP om att patienter som för närvarande deltar i kliniska prövningar skulle fortsätta att få IXinity och skulle byta till det förfinade läkemedlet efter att ändrade regler för prövningarnas utförande hade godkänts.

Om du deltar i en klinisk prövning och vill få mer information om din behandling kan du kontakta den läkare som ger dig läkemedlet.