

22. července 2016
EMA/579465/2016
EMA/H/C/004144

Otázky a odpovědi

Stažení žádosti o vydání rozhodnutí o registraci přípravku Begedina (begelomab)

Dne 4. července 2016 společnost Adienne S.r.l. S.U. oficiálně oznámila Výboru pro humánní léčivé přípravky (CHMP), že se rozhodla stáhnout svou žádost o vydání rozhodnutí o registraci přípravku Begedina určeného k léčbě reakce štěpu proti hostiteli.

Co je Begedina?

Begedina je léčivý přípravek, který obsahuje léčivou látku begelomab. Měl být k dispozici ve formě koncentrátu pro přípravu infuzního roztoku (kapání do žíly).

Na co měl být přípravek Begedina používán?

Přípravek Begedina měl být určen k léčbě akutní reakce štěpu proti hostiteli (stavu, při kterém transplantované buňky napadají pacientovo tělo) u dospělých, kteří podstoupili transplantaci hematopoetických progenitorových buněk (transplantace buněk, které se mohou vyvinout v různé typy krevních buněk) od dárce. Tento léčivý přípravek byl určen k použití u pacientů, jejichž onemocnění nereagovalo na léčbu steroidy.

Přípravek Begedina byl označen jako léčivý přípravek pro vzácná onemocnění dne 26. listopadu 2010. Přípravek měl být určen k léčbě reakce štěpu proti hostiteli. Další informace o léčivých přípravcích pro vzácná onemocnění naleznete [zde](#).

Jak by měl přípravek Begedina působit?

Begelomab, léčivá látka v přípravku Begedina, je monoklonální protilátka (typ bílkoviny), která byla vytvořena tak, aby se navázala na receptor zvaný CD26, jenž se nachází na povrchu T lymfocytů. Jedná se o typ bílých krvinek, které hrají roli v reakci štěpu proti hostiteli. Očekává se, že tento léčivý přípravek prostřednictvím vazby na CD26 sníží rychlost, s jakou se T lymfocyty množí. To by mělo vést

ke snížení počtu a aktivity T lymfocytů z transplantátu, které napadají orgány pacienta, a tím přispět ke kontrole reakce štěpu proti hostiteli.

Jakou dokumentaci předložila společnost na podporu své žádosti?

Společnost předložila výsledky ze dvou studií přípravku Begedina, do nichž bylo zařazeno celkem 29 dospělých s akutní reakcí štěpu proti hostiteli, která nereagovala na léčbu steroidy. V těchto studiích nebyl přípravek Begedina srovnáván s žádnou jinou léčbou.

V jaké fázi bylo posuzování žádosti v době, kdy byla stažena?

Žádost byla stažena poté, co výbor CHMP posoudil výchozí dokumentaci předloženou společností a vypracoval seznam otázek. V době stažení žádosti nebyly tyto otázky společností ještě zodpovězeny.

Jaké bylo doporučení výboru CHMP v dané době?

Na základě vyhodnocení dostupných údajů měl výbor CHMP v době stažení žádosti určité pochybnosti a jeho prozatímní stanovisko bylo, že přípravek Begedina nemůže být schválen k léčbě akutní reakce štěpu proti hostiteli nereagující na léčbu steroidy.

Výbor CHMP usoudil, že předložené údaje nebyly dostatečné k prokázání příznivého účinku přípravku Begedina. Kromě toho nebyl dostatečně popsán profil bezpečnosti a způsob, jakým se předpokládá, že přípravek v těle působí. Rovněž byly zjištěny nedostatky v procesu výroby léčivého přípravku.

Výbor CHMP proto v době stažení žádosti zastával názor, že společnost neposkytla dostatek údajů na podporu své žádosti o registraci přípravku Begedina.

Jaké důvody stažení žádosti uvedla společnost?

V dopisu, v němž společnost uvědomuje agenturu o svém rozhodnutí stáhnout žádost, tato společnost uvedla, že uznává nutnost získat doplňující údaje z ověřovací studie.

Tento dopis je k dispozici [zde](#).

Jaké jsou důsledky stažení žádosti pro pacienty zařazené do klinických studií?

Společnost informovala výbor CHMP, že stažení žádosti nemá žádné důsledky pro pacienty, kteří jsou v současné době zařazení do klinických studií s přípravkem Begedina.

Pokud jste zařazení do klinické studie a potřebujete získat více informací o své léčbě, kontaktujte lékaře, který vám přípravek podává.