

22 Ιουλίου 2016
EMA/579468/2016
EMA/H/C/004144

Ερωτήσεις και απαντήσεις

Απόσυρση της αίτησης για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας στο Begedina (begelomab)

Στις 4 Ιουλίου 2016, η εταιρεία Adienne S.r.l. S.U. κοινοποίησε επίσημα στην Επιτροπή Φαρμάκων για Ανθρώπινη Χρήση (CHMP) την πρόθεσή της να αποσύρει την αίτηση για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας για το Begedina, για τη θεραπεία της νόσου του μοσχεύματος κατά του ξενιστή.

Τι είναι το Begedina;

Το Begedina είναι φάρμακο που περιέχει τη δραστική ουσία begelomab. Επρόκειτο να διατεθεί υπό μορφή πυκνού διαλύματος για την παρασκευή διαλύματος προς έγχυση (ενστάλαξη) σε φλέβα.

Σε ποιες περιπτώσεις επρόκειτο να χρησιμοποιηθεί το Begedina;

Το Begedina επρόκειτο να χρησιμοποιηθεί για τη θεραπεία της οξείας νόσου του μοσχεύματος κατά του ξενιστή (μία πάθηση κατά την οποία μεταμοσχευμένα κύτταρα επιτίθενται στον οργανισμό του ασθενούς) σε ενήλικες που έχουν υποβληθεί σε μεταμόσχευση αιμοποιητικών προγονικών κυττάρων (μεταμόσχευση κυττάρων που μπορούν να εξελιχθούν σε διάφορους τύπους αιμοσφαιρίων) από δότη. Το φάρμακο επρόκειτο να χρησιμοποιηθεί σε ασθενείς των οποίων η νόσος δεν ανταποκρίθηκε σε θεραπεία με στεροειδή.

Το Begedina χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χορηγείται σε σπάνιες ασθένειες) στις 26 Νοεμβρίου 2010, για τη θεραπεία της νόσου του μοσχεύματος κατά του ξενιστή. Περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τον χαρακτηρισμό των ορφανών φαρμάκων διατίθενται [εδώ](#).

Ποια είναι η αναμενόμενη δράση του Begedina;

Η δραστική ουσία του Begedina, το begelomab, είναι ένα μονοκλωνικό αντίσωμα (είδος πρωτεΐνης) που έχει σχεδιαστεί ώστε να προσκολλάται σε έναν υποδοχέα που ονομάζεται CD26 και υπάρχει στην επιφάνεια των T κυττάρων. Πρόκειται για έναν τύπο λευκών αιμοσφαιρίων τα οποία διαδραματίζουν

κάποιον ρόλο στη νόσο του μοσχεύματος κατά του ξενιστή. Αυτό το φάρμακο, προσκολλώμενο στο CD26, αναμένεται να μειώσει τον ρυθμό πολλαπλασιασμού των Τ κυττάρων. Αυτό αναμένεται να μειώσει τον αριθμό και τη δραστηριότητα των Τ κυττάρων από τη μεταμόσχευση τα οποία επιτίθενται στα όργανα του ασθενούς, συμβάλλοντας κατ' αυτόν τον τρόπο στον έλεγχο της νόσου του μοσχεύματος κατά του ξενιστή.

Τι είδους τεκμηρίωση υπέβαλε η παρασκευάστρια εταιρεία προς στήριξη της αίτησής της;

Η εταιρεία παρουσίασε τα αποτελέσματα δύο μελετών με το Begedina, στις οποίες συμμετείχαν συνολικά 29 ενήλικες με οξεία νόσο του μοσχεύματος κατά του ξενιστή οι οποίοι δεν ανταποκρίθηκαν σε θεραπεία με στεροειδή. Στις εν λόγω μελέτες, δεν έγινε σύγκριση του Begedina με κάποια άλλη θεραπεία.

Σε ποιο στάδιο της αξιολόγησης βρισκόταν η αίτηση τη στιγμή της απόσυρσης;

Η αίτηση αποσύρθηκε αφού η CHMP είχε αξιολογήσει την αρχική τεκμηρίωση που υποβλήθηκε από την εταιρεία και είχε καταρτίσει κατάλογο ερωτήσεων. Κατά τη στιγμή της απόσυρσης της αίτησης, η εταιρεία δεν είχε ακόμη απαντήσει στον κατάλογο των ερωτήσεων.

Ποια ήταν η σύσταση της CHMP τη στιγμή της απόσυρσης;

Βάσει της εξέτασης των υποβληθέντων στοιχείων τη στιγμή της απόσυρσης, η CHMP εξέφρασε κάποιες ανησυχίες και διατύπωσε την προσωρινή γνώμη ότι το Begedina δεν θα μπορούσε να έχει εγκριθεί για τη θεραπεία της οξείας νόσου του μοσχεύματος κατά του ξενιστή, η οποία δεν ανταποκρίθηκε σε θεραπεία με στεροειδή.

Η CHMP έκρινε ότι τα δεδομένα που παρασχέθηκαν δεν ήταν επαρκή για την κατάδειξη της ευεργετικής επίδρασης του Begedina. Επιπλέον το προφίλ ασφάλειας και ο τρόπος με τον οποίο το φάρμακο αναμένεται να δράσει στον οργανισμό δεν είχαν χαρακτηριστεί επαρκώς. Εντοπίστηκαν επίσης ελλείψεις στη διαδικασία παρασκευής του φαρμάκου.

Ως εκ τούτου, τη στιγμή της απόσυρσης, η CHMP διατύπωσε τη γνώμη ότι η εταιρεία δεν παρείχε επαρκή στοιχεία για τη στήριξη της αίτησης χορήγησης άδειας κυκλοφορίας στο Begedina.

Ποιοι ήταν οι λόγοι απόσυρσης της αίτησης που παρέθεσε η εταιρεία;

Στην επιστολή της με την οποία κοινοποιεί στον Οργανισμό την απόσυρση της αίτησης, η εταιρεία ανέφερε ότι αναγνωρίζει την ανάγκη εξασφάλισης πρόσθετων δεδομένων από επιβεβαιωτική μελέτη.

Η επιστολή απόσυρσης διατίθεται [εδώ](#).

Ποιες είναι οι επιπτώσεις από την απόσυρση της αίτησης στους ασθενείς που συμμετέχουν σε κλινικές δοκιμές;

Η εταιρεία ενημέρωσε την CHMP ότι δεν υπάρχουν συνέπειες για τους ασθενείς που συμμετέχουν επί του παρόντος σε κλινικές δοκιμές με το Begedina.

Εάν συμμετέχετε σε κλινική δοκιμή και χρειάζεστε περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη θεραπεία σας, συμβουλευθείτε τον γιατρό που σας τη χορηγεί.