



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

15. listopadu 2019  
EMA/603662/2019  
EMA/H/C/002397

## Stažení žádosti o vydání rozhodnutí o registraci přípravku Luxceptar (životaschopné T-lymfocyty)

Společnost Kiadis Pharma Netherlands B.V. stáhla svou žádost o vydání rozhodnutí o registraci přípravku Luxceptar určeného k léčbě pacientů s různými druhy rakoviny krve podstupujících určitý typ transplantace krevních kmenových buněk.

Společnost svou žádost stáhla dne 6. listopadu 2019.

### Co je přípravek Luxceptar a k čemu měl být používán?

Luxceptar je léčivý přípravek vyvinutý s cílem zlepšit přežití u pacientů s různými druhy rakoviny krve, kteří jsou léčeni určitým typem transplantace krevních kmenových buněk (což je postup náhrady nezdravých krvetvorných buněk pacienta zdravými buňkami od vhodného dárce).

Předpokládalo se, že přípravek Luxceptar bude používán souběžně s transplantací u pacientů trpících určitými druhy rakoviny krevních buněk, kteří reagovali na chemoterapii a na léčbu ozařováním (úplná remise), ale u nichž je vysoké riziko návratu onemocnění.

Přípravek měl být používán u pacientů, kteří obdrželi transplantát od příbuzného, ale nikoli identického dárce, z něhož byly odstraněny T-lymfocyty (druh bílých krvinek). T-lymfocyty z takového transplantátu mohou napadat zdravé buňky v těle nového hostitele a způsobovat závažné vedlejší účinky nazývané „reakce štěpu proti hostiteli“. Jejich odstranění toto riziko zmírňuje, zároveň ale snižuje pravděpodobnost účinnosti transplantátu.

Přípravek Luxceptar obsahuje T-lymfocyty od dárce transplantátu, které byly speciálně upraveny za účelem snížení rizika reakce štěpu proti hostiteli. Měl být k dispozici ve formě tekuté suspenze podávané infuzí (kapáním) do žíly.

Přípravek Luxceptar byl v různých termínech stanoven jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“. Další informace o postupu stanovení léčivých přípravků pro vzácná onemocnění naleznete na internetových stránkách agentury zde: [prevence reakce štěpu proti hostiteli](#), září 2008; [léčba akutní myeloidní leukémie](#), listopad 2014; [léčba při transplantaci hematopoetických kmenových buněk](#), červen 2016.

---

**Official address** Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

**Address for visits and deliveries** Refer to [www.ema.europa.eu/how-to-find-us](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



## **Jak přípravek Luxceptar působí?**

Ačkoli snížení množství transplantovaných T-lymfocytů zmírňuje riziko reakce štěpu proti hostiteli, může také snížit účinnost transplantátu v boji proti nádorovým buňkám a při obnově pacientova imunitního systému. Přípravek Luxceptar obsahuje T-lymfocyty dárce, které byly selektivně upraveny tak, aby byly odstraněny pouze ty z nich, které by mohly napadnout tkáň pacienta a způsobit reakci štěpu proti hostiteli. Jejich podání krátce po transplantaci nahradí chybějící buňky v transplantátu a zvýší jeho účinnost v boji s infekcemi a nádorovými buňkami.

## **Jakou dokumentaci předložila společnost na podporu své žádosti?**

Společnost poskytla výsledky hlavní studie zahrnující 23 pacientů, kteří měli obdržet transplantát s kmenovými krevními buňkami zbavený T-lymfocytů od příbuzného, ale nikoli identického dárce za účelem léčby akutní myeloidní nebo lymfoblastické leukémie či myelodysplastických syndromů. Hlavním měřítkem účinnosti byl počet úmrtí v souvislosti s komplikacemi po transplantaci s odstupem 6 měsíců. Společnost také poskytla podpůrné údaje o kvalitě, bezpečnosti a účinnosti z dalších studií.

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

Žádost byla stažena poté, co Evropská agentura pro léčivé přípravky posoudila dokumentaci předloženou společností a vypracovala seznam otázek. Poté, co agentura vyhodnotila odpovědi společnosti na poslední soubor otázek, a následně provedla konzultace s externími odborníky a se společností, zůstaly některé body nedořešené.

Jelikož je přípravek Luxceptar léčivým přípravkem pro moderní terapie, byl jménem agentury hodnocen Výborem pro moderní terapie.

## **Jaké bylo doporučení agentury v dané době?**

Na základě vyhodnocení dostupných údajů a odpovědí společnosti na otázky agentury měla agentura v době stažení žádosti určité pochybnosti a její prozatímní stanovisko bylo, že přípravek Luxceptar nemůže být schválen k léčbě pacientů s různými druhy rakoviny krve, kteří obdrželi transplantáty kmenových krevních buněk zbavené T-lymfocytů. Hlavní studie zahrnovala nízký počet pacientů a způsob jejího navržení neumožňoval agentuře dospět k závěru ohledně účinnosti přípravku Luxceptar. Agentura proto v době stažení žádosti zastávala názor, že účinnost přípravku Luxceptar nebyla dostatečným způsobem prokázána a že přínosy tohoto přípravku nepřevyšují jeho rizika.

## **Jaké důvody stažení žádosti uvedla společnost?**

Společnost ve svém [dopise](#), v němž uvědomuje agenturu o stažení žádosti, uvedla, že žádost stahuje kvůli stanovisku agentury, podle něhož stávající důkazy nedostačovaly k vyvození závěru ohledně účinnosti léčby.

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

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

Pokud jste zařazení do klinické studie a potřebujete získat více informací o své léčbě, obraťte se na svého lékaře v rámci klinické studie.