



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Tilbagetrækning af ansøgningen om markedsføringstilladelse for Luxceptar (levedygtige T-celler)

Kiadis Pharma Netherlands B.V. har tilbagetrukket sin ansøgning om markedsføringstilladelse for Luxceptar til behandling af patienter med blodkræft, som får en specifik type blodstamcelletransplantation.

Virksomheden trak ansøgningen tilbage den 6. november 2019.

Hvad er Luxceptar, og hvad forventedes det anvendt til?

Luxceptar er et lægemiddel, der er udviklet til at forbedre overlevelsen hos patienter med blodkræft, som behandles med en specifik type blodstamcelletransplantation (en procedure, hvor patientens syge bloddannende celler erstattes med raske fra en matchende donor).

Det var meningen, at Luxceptar skulle anvendes sammen med transplantationen hos patienter med visse typer blodkræft, som havde reageret på kemoterapi og strålebehandling (fuldstændig remission), men som havde høj risiko for, at kræften vendte tilbage.

Det skulle anvendes hos patienter, der havde fået en transplantation fra en beslægtet, men ikke identisk donor, hvorfra man havde fjernet T-celler (en type hvide blodlegemer). T-celler fra et sådant transplantat kan angribe den nye værts raske celler og forårsage alvorlige bivirkninger (såkaldte transplantat-donor-reaktioner). Ved at fjerne dem kan denne risiko reduceres, men det sænker også sandsynligheden for, at transplantationen vil være effektiv.

Luxceptar indeholder T-celler fra transplantatdonoren, og de er særligt behandlet for at reducere risikoen for transplantat-donor-reaktioner. Lægemidlet skulle markedsføres som en flydende suspension, der skulle gives ved infusion (drop) i en blodåre.

Luxceptar blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" på forskellige datoer. Yderligere oplysninger om udpegelsen til lægemidler til sjældne sygdomme findes på agenturets websted under: [forebyggelse af transplantat-donor-reaktioner](#), september 2008, [behandling af akut myeloid leukæmi](#), november 2014, og [behandling ifm. hæmatopoietisk stamcelletransplantation](#), juni 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

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

An agency of the European Union



Hvordan virker Luxceptar?

Selv om reduktionen af antallet af transplanterede T-celler i et transplantat reducerer risikoen for transplantat-donor-reaktioner, kan det også gøre det sværere for transplantatet at bekæmpe kræftcellerne og genopbygge patientens immunforsvar. Luxceptar indeholder donorens T-celler, der er selektivt behandlet, så kun dem, der kan angribe patientens væv og forårsage transplantat-donor-reaktioner, fjernes. Når de indgives kort tid efter transplantationen, erstattes de manglende celler i transplantatet, og det medvirker til at bekæmpe infektioner og kræftceller.

Hvilken dokumentation fremlagde virksomheden i forbindelse med ansøgningen?

Virksomheden indsendte resultaterne af et hovedstudie med 23 patienter, der skulle modtage et T-celle-depleteret blodstamcelletransplantat fra en beslægtet, men ikke identisk donor til behandling af akut myeloid eller lymfatisk leukæmi eller myeolodysplastiske syndromer. Virkningen blev hovedsagelig bedømt på antallet af dødsfald relateret til transplantationskomplikationer efter 6 måneder. Virksomheden indsendte også understøttende data for kvalitet, sikkerhed og effekt fra andre studier.

Hvor langt var vurderingen af ansøgningen nået, da den blev trukket tilbage?

Ansøgningen blev trukket tilbage, efter at Det Europæiske Lægemiddelagentur havde vurderet den dokumentation, som virksomheden havde fremlagt, og udarbejdet spørgsmål til virksomheden. Efter agenturet havde vurderet virksomhedens svar på den sidste spørgsmålsrunde og efterfølgende havde rådført sig med eksterne eksperter og virksomheden, var der fortsat visse uafklarede punkter.

Da Luxceptar er et lægemiddel til avanceret terapi, blev det vurderet af Udvalget For Avancerede Terapier på vegne af agenturet.

Hvad anbefalede agenturet på daværende tidspunkt?

På baggrund af gennemgangen af dataene og virksomhedens svar på agenturets spørgsmål på tidspunktet for tilbagetrækningen af ansøgningen havde agenturet visse betænkeligheder og var af den foreløbige opfattelse, at Luxceptar ikke kunne være blevet godkendt til behandling af patienter med blodkræft, der fik T-celle-depleteret blodstamcelletransplantation. Hovedstudiet omfattede et lille antal patienter, og den måde, som det var designet på, gjorde det ikke muligt for agenturet at nå en konklusion om virkningen af Luxceptar. Derfor var agenturet på tidspunktet for tilbagetrækningen af den opfattelse, at fordelene ved Luxceptar ikke opvejede risiciene, da virkningen ikke var blevet påvist.

Hvilke begrundelser gav virksomheden for tilbagetrækningen af ansøgningen?

I sit [brev](#) til agenturet om tilbagetrækningen af ansøgningen anførte virksomheden, at den trak sin ansøgning tilbage på grund af agenturets udtalelse om, at den aktuelle evidens ikke var tilstrækkelig til at konkludere, at behandlingen virkede.

Hvilke konsekvenser har tilbagetrækningen for patienter, der deltager i kliniske studier?

Virksomheden har til agenturet oplyst, at der ikke er nogen konsekvenser for patienter, der deltager i kliniske studier med Luxceptar.

Hvis du deltager i et klinisk studie og har behov for yderligere oplysninger om din behandling, kan du kontakte den læge, der behandler dig.