



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Rücknahme des Antrags auf Genehmigung für das Inverkehrbringen von Luxceptar (lebensfähige T-Zellen)

Kiadis Pharma Netherlands B.V. hat seinen Antrag auf Genehmigung für das Inverkehrbringen von Luxceptar für die Behandlung von Blutkrebspatienten, die eine Art von Blutstammzelltransplantation erhalten, zurückgenommen.

Das Unternehmen nahm den Antrag am 6. November 2019 zurück.

### Was ist Luxceptar und wofür sollte es angewendet werden?

Luxceptar ist ein Arzneimittel, das entwickelt wurde, um das Überleben von Blutkrebspatienten zu verbessern, die mit einer bestimmten Art von Blutstammzelltransplantation behandelt werden (ein Verfahren, um die ungesunden blutbildenden Zellen eines Patienten durch gesunde Zellen eines übereinstimmenden Spenders zu ersetzen).

Man ging davon aus, dass Luxceptar zusammen mit dem Transplantat bei Patienten mit bestimmten Blutzellkrebsarten eingesetzt werden kann, die auf Chemotherapie und Strahlentherapie ansprechen („komplette Remission“), aber ein hohes Risiko eines Wiederauftretens aufweisen.

Es sollte bei Patienten eingesetzt werden, die ein Transplantat von einem verwandten, aber nicht identischen Spender erhalten und von dem T-Zellen (eine Art weiße Blutkörperchen) entfernt wurden. T-Zellen aus einem solchen Transplantat können gesunde Zellen in ihrem neuen Wirt angreifen und ernsthafte Nebenwirkungen hervorrufen, was als Transplantat-gegen-Wirt-Erkrankung (Graft-versus-Host-Disease, GVHD) bezeichnet wird; ihre Beseitigung reduziert dieses Risiko, reduziert aber die Wahrscheinlichkeit, dass das Transplantat tatsächlich wirksam sein wird.

Luxceptar enthält T-Zellen des Transplantatspenders, die besonders behandelt wurden, um das GVHD-Risiko zu reduzieren. Es sollte als eine flüssige Suspension zur Tropfinfusion in eine Vene erhältlich sein.

Luxceptar wurde verschiedentlich als Arzneimittel für seltene Leiden („Orphan-Arzneimittel“) ausgewiesen. Weitere Informationen zu den Ausweisungen als Arzneimittel für seltene Leiden finden Sie hier: [Vermeidung von GVHD](#), September 2008; [Behandlung von akuter myeloischer Leukämie](#), November 2014; [Behandlung bei der Transplantation von hämatopoetischen Stammzellen](#), 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](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



## **Wie wirkt Luxceptar?**

Obwohl die Reduzierung der Anzahl transplantierte T-Zellen in einem Transplantat das Risiko auf GVHD reduziert, kann es dem Transplantat auch erschwert werden, die Krebszellen zu bekämpfen und das Immunsystem des Patienten wieder aufzubauen. Luxceptar enthält die T-Zellen des Spenders, die selektiv behandelt wurden, nur um diejenigen zu entfernen, die das Gewebe des Patienten angreifen und GVHD hervorrufen könnten. Dadurch, dass es kurz nach dem Transplantat gegeben wird, werden die fehlenden Zellen im Transplantat ersetzt und es hilft bei der Bekämpfung von Infektionen und Krebszellen.

## **Welche Unterlagen hat das Unternehmen zur Stützung seines Antrags vorgelegt?**

Das Unternehmen lieferte Ergebnisse aus einer Hauptstudie, an der 23 Patienten teilnahmen, die eine T-Zellen-depletierte Blutstammzelltransplantation von einem verwandten, aber nicht identischen Spender zur Behandlung akuter myeloischer oder lymphoblastischer Leukämien oder myelodysplastischer Syndrome erhalten sollten. Hauptindikator für die Wirksamkeit war die Zahl der Todesfälle im Zusammenhang mit Transplantatkomplikationen nach 6 Monaten. Das Unternehmen stellte auch Daten zur Qualität, Sicherheit und Wirksamkeit aus anderen Studien zur Verfügung.

## **In welchem Stadium der Beurteilung befand sich der Antrag zum Zeitpunkt der Rücknahme?**

Der Antrag wurde zurückgenommen, nachdem die Europäische Arzneimittel-Agentur die von dem Unternehmen eingereichten Unterlagen ausgewertet und eine Liste von Fragen formuliert hatte. Nachdem die Agentur die Antworten des Unternehmens auf die letzte Runde der ihm gestellten Fragen geprüft und anschließend externe Experten und das Unternehmen hinzugezogen hatte, waren immer noch einige Fragen ungeklärt.

Da Luxceptar ein Arzneimittel für neuartige Therapien ist, wurde es im Auftrag der Agentur vom Ausschuss für neuartige Therapien beurteilt.

## **Wie lautete die Empfehlung der Agentur zu diesem Zeitpunkt?**

Ausgehend von der Überprüfung der Daten und den Antworten des Unternehmens auf die Fragen der Agentur hatte die Agentur zum Zeitpunkt der Rücknahme gewisse Bedenken, und sie war der vorläufigen Ansicht, dass Luxceptar für die Behandlung von Blutkrebspatienten nicht hätte zugelassen werden können, die T-Zell-depletierte Blutstammzelltransplantate erhielten. Die Hauptstudie umfasste eine kleine Anzahl von Patienten, und die Art und Weise, wie sie konzipiert wurde, ermöglichte es der Agentur nicht, eine Schlussfolgerung über die Wirksamkeit von Luxceptar zu ziehen. Zum Zeitpunkt der Rücknahme war die Agentur daher der Ansicht, dass der Nutzen von Luxceptar gegenüber den Risiken nicht überwiegt, weil die Wirksamkeit nicht nachgewiesen worden ist.

## **Aus welchen Gründen hat das Unternehmen den Antrag zurückgenommen?**

In dem [Schreiben](#), in dem das Unternehmen die Agentur über die Rücknahme des Antrags informiert, erklärte es, dass es den Antrag zurücknehme, weil die Agentur der Auffassung sei, dass die vorliegenden Nachweise nicht ausreichen würden, um zu einer Schlussfolgerung über die Wirksamkeit der Behandlung zu gelangen.

## **Hat die Rücknahme Konsequenzen für Patienten, die derzeit an klinischen Studien teilnehmen?**

Das Unternehmen teilte der Agentur mit, dass sich keine Konsequenzen für Patienten ergeben, die derzeit an klinischen Studien mit Luxceptar teilnehmen.

Sollten Sie an einer klinischen Studie teilnehmen und weitere Informationen zu Ihrer Behandlung benötigen, wenden Sie sich bitte an Ihren Studienarzt.