



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

15 Νοεμβρίου 2019
EMA/603662/2019
EMA/H/C/002397

Απόσυρση της αίτησης για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας στο Luxceptar (βιώσιμα T κύτταρα)

Η Kiadis Pharma Netherlands B.V. απέσυρε την αίτησή της για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας στο Luxceptar που χορηγείται για τη θεραπεία ασθενών με καρκίνο του αίματος, στους οποίους πραγματοποιείται ένα είδος μεταμόσχευσης αιμοποιητικών βλαστικών κυττάρων.

Η εταιρεία απέσυρε την αίτηση στις 6 Νοεμβρίου 2019.

Τι είναι το Luxceptar και σε ποιες περιπτώσεις επρόκειτο να χρησιμοποιηθεί;

Το Luxceptar είναι φάρμακο που αναπτύχθηκε για τη βελτίωση της επιβίωσης ασθενών με καρκίνο του αίματος στους οποίους πραγματοποιείται συγκεκριμένο είδος μεταμόσχευσης αιμοποιητικών βλαστικών κυττάρων (διαδικασία κατά την οποία αντικαθίστανται τα μη υγιή αιμοποιητικά κύτταρα ενός ασθενούς από υγιή αιμοποιητικά κύτταρα που λαμβάνονται από συμβατό δότη).

Το Luxceptar προοριζόταν να χρησιμοποιηθεί παράλληλα με το μόσχευμα σε ασθενείς με ορισμένους τύπους καρκίνου του αίματος, που ανταποκρίνονται στη χημειοθεραπεία και την ακτινοβολία (πλήρης ύφεση), αλλά παρουσιάζουν υψηλό κίνδυνο υποτροπής.

Προοριζόταν για χρήση σε ασθενείς που λαμβάνουν μόσχευμα από συγγενή αλλά όχι πανομοιότυπο δότη και από το οποίο έχουν αφαιρεθεί τα T κύτταρα (τύπος λευκών αιμοσφαιρίων). Τα T κύτταρα από τέτοιου είδους μόσχευμα μπορούν να επιτεθούν στα υγιή κύτταρα του νέου τους ξενιστή και να προκαλέσουν σοβαρές ανεπιθύμητες ενέργειες που ονομάζονται νόσος μοσχεύματος έναντι του ξενιστή (GVHD). Η αφαίρεσή τους μειώνει αυτόν τον κίνδυνο, αλλά και την πιθανότητα να είναι αποτελεσματικό το μόσχευμα.

Το Luxceptar περιέχει T κύτταρα από τον δότη του μοσχεύματος, ειδικά επεξεργασμένα ώστε να μειώνεται ο κίνδυνος GVHD. Επρόκειτο να διατεθεί υπό μορφή υγρού εναιωρήματος προς ενδοφλέβια έγχυση (στάγδην χορήγηση).

Το Luxceptar χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χορηγείται σε σπάνιες ασθένειες) σε διάφορες ημερομηνίες. Περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τον χαρακτηρισμό των ορφανών φαρμάκων διατίθενται στον διαδικτυακό τόπο του Οργανισμού: [Πρόληψη της GVHD](#), Σεπτέμβριος 2008.

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



[Θεραπεία οξείας μυελογενούς λευχαιμίας](#), Νοέμβριος 2014. [Θεραπεία κατά τη μεταμόσχευση αρχέγονων αιμοποιητικών κυττάρων](#), Ιούνιος 2016.

Πώς δρα το Luxceptar;

Αν και η μείωση του αριθμού των μεταμοσχευμένων T κυττάρων σε ένα μόσχευμα μειώνει τον κίνδυνο GVHD, μπορεί επίσης να δυσκολέψει τη δράση του μοσχεύματος κατά των καρκινικών κυττάρων και την αποκατάσταση του ανοσοποιητικού συστήματος του ασθενούς. Το Luxceptar περιέχει τα T κύτταρα του δότη τα οποία έχουν υποβληθεί σε επιλεκτική επεξεργασία έτσι ώστε να αφαιρεθούν μόνο αυτά που ενδέχεται να επιτεθούν στον ιστό του ασθενούς και να προκαλέσουν GVHD. Η χορήγησή τους αμέσως μετά τη μεταμόσχευση αντικαθιστά τα κύτταρα που λείπουν από το μόσχευμα, βοηθώντας στην καταπολέμηση των λοιμώξεων και των καρκινικών κυττάρων.

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

Η εταιρεία υπέβαλε αποτελέσματα από μία κύρια μελέτη στην οποία μετείχαν 23 ασθενείς που επρόκειτο να λάβουν μόσχευμα αιμοποιητικών βλαστικών κυττάρων χωρίς T κύτταρα από συγγενή αλλά όχι πανομοιότυπο δότη, για τη θεραπεία οξείας μυελογενούς ή λεμφοβλαστικής λευχαιμίας ή μυελοδυσπλαστικών συνδρόμων. Ο βασικός δείκτης μέτρησης της αποτελεσματικότητας ήταν ο αριθμός των θανάτων που σχετίζονταν με επιπλοκές λόγω μεταμόσχευσης έπειτα από 6 μήνες. Η εταιρεία υπέβαλε, επίσης, υποστηρικτικά δεδομένα αναφορικά με την ποιότητα, την ασφάλεια και την αποτελεσματικότητα, από άλλες μελέτες.

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

Η αίτηση αποσύρθηκε αφού ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων είχε ήδη αξιολογήσει τις πληροφορίες που υπέβαλε η εταιρεία και είχε καταρτίσει κατάλογο ερωτήσεων για αυτήν. Αφότου ο Οργανισμός ολοκλήρωσε την αξιολόγηση των απαντήσεων της εταιρείας στον τελευταίο γύρο ερωτήσεων και στη συνέχεια ζήτησε τη γνώμη εξωτερικών εμπειρογνομόνων και της εταιρείας, εκκρεμούσαν ακόμη ορισμένα ζητήματα.

Ως φάρμακο προηγμένης θεραπείας, το Luxceptar αξιολογήθηκε για λογαριασμό του Οργανισμού από την Επιτροπή Προηγμένων Θεραπειών.

Ποια ήταν η σύσταση του Οργανισμού τη στιγμή της απόσυρσης;

Βάσει της εξέτασης των υποβληθέντων στοιχείων και των απαντήσεων της εταιρείας στις ερωτήσεις του Οργανισμού τη στιγμή της απόσυρσης, ο Οργανισμός εξέφρασε ορισμένες ανησυχίες και διατύπωσε την προσωρινή γνώμη ότι το Luxceptar δεν θα μπορούσε να έχει εγκριθεί για τη θεραπεία ασθενών με καρκίνο του αίματος, οι οποίοι λαμβάνουν μοσχεύματα αιμοποιητικών βλαστικών κυττάρων από τα οποία έχουν αφαιρεθεί τα T κύτταρα. Στην κύρια μελέτη μετείχε μικρός αριθμός ασθενών και είχε σχεδιαστεί κατά τρόπο που δεν επέτρεπε στον Οργανισμό να καταλήξει σε συμπέρασμα σχετικά με την αποτελεσματικότητα του Luxceptar. Ως εκ τούτου, τη στιγμή της απόσυρσης, ο Οργανισμός διατύπωσε τη γνώμη ότι, λόγω της μη αποδεδειγμένης αποτελεσματικότητας, τα οφέλη του Luxceptar δεν υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό.

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 δήλωσε ότι αποσύρει την αίτηση λόγω της άποψης του Οργανισμού ότι τα υφιστάμενα αποδεικτικά στοιχεία δεν επαρκούν ώστε να αποφανθεί επί της αποτελεσματικότητας της θεραπείας.

Επηρεάζει η απόσυρση της αίτησης τους ασθενείς που συμμετέχουν σε κλινικές δοκιμές;

Η εταιρεία ενημέρωσε τον Οργανισμό ότι δεν υπάρχουν συνέπειες για τους ασθενείς που συμμετέχουν σε κλινικές δοκιμές με το Luxceptar.

Εάν συμμετέχετε σε κλινική δοκιμή και χρειάζεστε περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη θεραπεία σας, συμβουλευθείτε τον γιατρό που σας παρακολουθεί στο πλαίσιο της δοκιμής.