



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Müügiloa taotluse tagasivõtmise teave: Luxceptar (elus T-rakud)

Kiadis Pharma Netherlands B.V. võttis tagasi ravimi Luxceptar müügiloa taotluse. Ravim oli näidustatud selliste verevähiga patsientide raviks, kes saavad teatud tüüpi vereloome tüvirakkude siiriku.

Ettevõtte võttis taotluse tagasi 6. novembril 2019.

Mis on Luxceptar ja milleks kavatseti seda kasutada?

Luxceptar on ravim, mis on välja töötatud selliste verevähiga patsientide elumuse suurendamiseks, keda ravitakse teatud tüüpi vereloome tüvirakkude siirates (kui patsiendi haiged vereloomerakud asendatakse sobiva doonori tervete vereloomerakkudega).

Luxceptari kavatseti kasutada koos siirikuga patsientidel, kellel on teatud vererakuvähid, mis on reageerinud keemia- ja kiiritusravile (täielik remissioon), kuid millel on suur taastekke risk.

Seda kavatseti kasutada patsientidel, kes saavad siiriku sugulas-, ent mitte identselt doonorilt, ja sellelt on eemaldatud T-rakud (teatud leukotsüüdid). Sellise siiriku T-rakud võivad uues organismis rünnata terveid rakke ja tekitada raskeid kõrvalnähte, mida kokku nimetatakse siiriku peremehevastaseks reaktsiooniks. Nende rakkude eemaldamine vähendab selle riski, kuid ka siiriku efektiivsuse tõenäosust.

Luxceptar sisaldab siiriku doonori T-rakke, mida on eriliselt töödeldud, et vähendada siiriku peremehevastase reaktsiooni riski. Seda kavatseti turustada vedela infusioonisuspensioonina (tilgutamiseks veeni).

Luxceptar nimetati mitmel kuupäeval harvikravimiks (ravim, mida kasutatakse harvaesinevate haiguste korral). Lisateave harvikravimiks nimetamise kohta on Euroopa Raviameti veebilehel: [siiriku peremehevastase reaktsiooni ennetamine](#), september 2008; [ägeda müeloidleukeemia ravi](#), november 2014; [ravi vereloome tüvirakkude siirdamise korral](#), juuni 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



Kuidas Luxceptar toimib?

Siirikuga koos siiratavate T-rakkude arvu vähendamine vähendab siiriku peremehevastase reaktsiooni riski, kuid võib nõrgestada siiriku toimet vähirakkude vastu ja siirikul võib olla raskem taastada patsiendi immuunsüsteemi. Luxceptar sisaldab doonori T-rakke, mida on valikuliselt töödeldud, et eemaldada ainult sellised T-rakud, mis võivad rünnata patsiendi kudesid ja põhjustada siiriku peremehevastase reaktsiooni. Nende manustamisega varsti pärast siirdamist asendatakse siirikust puuduvad rakud ning see aitab siirikul võidelda nakkuste ja vähirakkudega.

Mis dokumendid esitas ettevõtte oma taotluse toetuseks?

Ettevõtte esitas ühe põhiuuringu tulemused. Uuringus osales 23 patsienti, kes said T-rakkudeta vereloome tüvirakkude siiriku sugulas-, kuid mitte identselt doonorilt, et ravida ägedat müeloid- või lümfoblastleukeemiat või müelodüsplastilist sündroomi. Efektiivsuse põhinäitaja oli selliste surmajuhtumite arv, mis olid seotud siiriku tüsistustega pärast 6 kuud. Ettevõtte esitas ka muudest uuringutest pärit toetavad andmed kvaliteedi, ohutuse ja efektiivsuse kohta.

Mis järgus oli müügiloa taotluse hindamine, kui see tagasi võeti?

Taotlus võeti tagasi pärast seda, kui Euroopa Raviamet oli hinnanud ettevõtte esitatud teavet ja koostanud ettevõttele vastamiseks küsimused. Kui amet oli ettevõttele esitatud viimaste küsimuste vastused läbi vaadanud ning seejärel konsulteerinud välisekspertide ja ettevõttega, oli mõni probleem veel lahendamata.

Et Luxceptar on uudne ravim, hindas seda ameti nimel uudsete ravimeetodite komitee.

Mis oli sel ajal ameti soovitus?

Andmete analüüsi ja ameti esitatud küsimustele ettevõttelt saadud vastuste põhjal nägi amet taotluse tagasivõtmise ajal põhjust ettevaatlikkuseks. Ameti esialgne arvamus oli, et Luxceptarile ei saa anda müügiluba selliste verevähiga patsientide raviks, kes saavad T-rakkudeta vereloome tüvirakkude siiriku. Põhiuuringus osales väike arv patsiente ja uuringu ülesehituse tõttu ei saanud amet järeldada, kas Luxceptar on efektiivne. Taotluse tagasivõtmise ajal oli amet arvamusel, et ravimi efektiivsus ei ole tõendatud ja seega ei ole ka Luxceptari kasulikkus suurem kui sellega kaasnevad riskid.

Mis põhjustel võttis ettevõtte taotluse tagasi?

Taotluse tagasivõtmisest ametile teatavas [kirjas](#) teatas ettevõtte, et taotluse tagasivõtmise põhjus on ameti arvamus, et praegustest tõenditest ei piisa ravi efektiivsuse järeldamiseks.

Kas tagasivõtmine mõjutab praegu kliinilistes uuringutes osalevaid patsiente?

Ettevõtte teatas Euroopa Raviametile, et taotluse tagasivõtmine ei mõjuta praegu Luxceptari kliinilistes uuringutes osalevaid patsiente.

Kui osalete ravimi kliinilises uuringus ja vajate ravi kohta lisateavet, rääkige kliinilise uuringu arstiga.