



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Luxceptaria (elinkelpoiset T-solut) koskevan myyntilupahakemuksen peruuttaminen

Kiadis Pharma Netherlands B.V. on peruuttanut myyntilupahakemuksensa, joka koski tietyn tyyppisen kantasolusiirron saavien verisyöpäpotilaiden hoitoon tarkoitettua lääkevalmistetta Luxceptar.

Yhtiö peruutti hakemuksen 6. marraskuuta 2019.

### Mitä Luxceptar on ja mihin sitä oli tarkoitus käyttää?

Luxceptar on lääke, joka on kehitetty parantamaan eloonjääntä verisyöpäpotilailla, joita hoidetaan tietyn tyyppisellä kantasolusiirrolla (toimenpiteellä, jossa potilaan sairaat verta muodostavat solut korvataan yhteensopivalta luovuttajalta saaduilla terveillä soluilla).

Luxceptaria oli tarkoitus käyttää siirron yhteydessä potilailla, joilla on tietty verisolusyöpä ja jotka ovat vastanneet solunsalpaajahoitoon ja sädehoitoon (täydellinen remissio), mutta joilla on suuri sairauden uusiutumisen riski.

Sitä oli tarkoitus käyttää potilailla, jotka saavat sukua olevalta mutta ei identtiseltä luovuttajalta siirteen, josta on poistettu T-solut (eräänlaisia valkosoluja). Tällaisen siirteen T-solut saattavat hyökätä terveitä soluja vastaan uudessa isännässä ja aiheuttaa vakavia haittavaikutuksia, joita kutsutaan käännteishyljinnäksi (GVHD). T-solujen poistaminen pienentää tätä riskiä mutta myös siirteen tehon todennäköisyyttä.

Luxceptar sisältää siirteen luovuttajan T-soluja, jotka on käsitelty siten, että käännteishyljinnän riski pienenee. Sitä oli määrä olla saatavana nestemäisenä suspensiona, joka annetaan infuusiona (tiputuksena) laskimoon.

Luxceptar nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisissa sairauksissa käytettävä lääke) eri päivämäärinä. Lisätietoja harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on viraston verkkosivuilla: [käännteishyljinnän ehkäisy](#), syyskuu 2008, [akuutin myeloosien leukemian hoito](#), marraskuu 2014, [hoito hematopoeettisen kantasolusiirron yhteydessä](#), kesäkuu 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



## **Miten Luxceptar vaikuttaa?**

Siirteen mukana siirrettyjen T-solujen määrän vähentäminen pienentää käänteishyljinnän riskiä, mutta samalla se vaikeuttaa syöpäsolujen torjuntaa siirteelle ja potilaan immuunijärjestelmän toiminnan palauttamista. Luxceptar sisältää luovuttajan T-soluja, jotka on käsitelty valikoivasti siten, että vain ne solut, jotka voivat hyökätä potilaan kudoksia vastaan ja aiheuttaa käänteishyljintää, on poistettu. Niiden antaminen pian siirron jälkeen korvaa siirteestä puuttuvat solut ja auttaa torjumaan infektoita ja syöpäsoluja.

## **Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?**

Yhtiö toimitti tulokset päätutkimuksesta, johon osallistui 23 potilasta, joille aiottiin siirtää T-soluton kantasolusiirre luovuttajalta, joka on sukua mutta ei identtinen, akuutin myeloosin tai lymfoblastisen leukemian tai myelodysplastisen oireyhtymän hoitoon. Tehon pääasiallisena mittana oli siirrekomplikaatioihin liittyvien kuolemien määrä kuuden kuukauden kuluttua. Lisäksi yhtiö toimitti muista tutkimuksista tietoja laadun, turvallisuuden ja tehon tueksi.

## **Miten pitkällä hakemuksen arviointi oli, kun se peruutettiin?**

Hakemus peruutettiin sen jälkeen, kun lääkevalmistekomitea oli arvioinut yhtiön toimittamat tiedot ja laatinut luettelon kysymyksistä. Kun lääkevalmistekomitea oli arvioinut yhtiön viimeisiin kysymyksiin antamat vastaukset ja kuullut ulkoisia asiantuntijoita ja yhtiötä, joitakin seikkoja oli vielä selvittämättä.

Koska Luxceptar on pitkälle kehitetyn terapian lääke, sen arvioi pitkälle kehitettyjä terapiota käsittelevä komitea (CAT) lääkevalmistekomitean puolesta.

## **Mikä oli viraston suositus tuolloin?**

Virasto suhtautui saamiensa tietojen ja yhtiön kysymysluetteloon antamien vastausten tarkastelun perusteella varauksellisesti joihinkin seikkoihin hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, ja sen alustava kanta oli, että Luxceptaria ei olisi voitu hyväksyä sellaisten verisyöpäpotilaiden hoitoon, joille tehdään T-soluton kantasolusiirto. Päätutkimukseen osallistui pieni määrä potilaita, eikä virasto voinut tutkimusasetelman vuoksi tehdä päätelmiä Luxceptarin tehosta. Siksi lääkevalmistekomitea katsoi hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, että Luxceptarista saatava hyöty ei ole sen riskejä suurempi, koska sen tehoa ei voitu osoittaa.

## **Mistä syistä yhtiö peruutti hakemuksen?**

[Kirjeessään](#), jossa yhtiö ilmoittaa virastolle hakemuksen peruuttamisesta, se toteaa peruuttavansa hakemuksen siksi, että viraston mukaan nykyinen näyttö ei riitä hoidon tehon osoittamiseen.

## **Mitä seurauksia tämän hakemuksen peruuttamisesta on kliinisiin tutkimuksiin osallistuvilla potilaille?**

Yhtiö ilmoitti lääkevalmistekomitealle, että peruuttamisesta ei ole mitään seurauksia potilaille, jotka osallistuvat Luxceptaria koskeviin kliinisiin tutkimuksiin.

Jos olet mukana kliinisessä tutkimuksessa ja tarvitset lisätietoa hoidostasi, ota yhteyttä hoitavaan lääkäriin.