

15 novembre 2019

EMA/H/C/002397

Retrait de la demande d'autorisation de mise sur le marché pour Luxceptar (lymphocytes T viables)

Kiadis Pharma Netherlands B.V a retiré sa demande d'autorisation de mise sur le marché pour Luxceptar, destiné au traitement de patients atteints de cancers du sang et recevant un type de greffe de cellules souches du sang.

La société a retiré sa demande le 6 novembre 2019.

Qu'est-ce que Luxceptar et dans quel cas devait-il être utilisé?

Luxceptar est un médicament développé afin d'améliorer la survie chez les patients atteints de cancers du sang, qui sont traités par un type spécifique de greffe de cellules souches du sang (une procédure visant à remplacer les cellules productrices de sang malades par des cellules saines provenant d'un donneur compatible).

Luxceptar devait être utilisé en complément de la greffe chez les patients atteints de certains cancers des cellules sanguines ayant répondu à une chimiothérapie ainsi qu'à une radiothérapie (rémission complète), mais présentant un risque élevé de récurrence.

Il devait être utilisé chez les patients recevant une greffe provenant d'un donneur apparenté mais non identique et de laquelle les lymphocytes T (un type de globules blancs) avaient été retirés. Les lymphocytes T issues d'une telle greffe peuvent attaquer les cellules saines du nouvel hôte et provoquer de graves effets indésirables appelés maladie du greffon contre l'hôte (GVHD); les retirer permet de réduire ce risque mais réduit également la probabilité de succès de la greffe.

Luxceptar contient des lymphocytes T provenant du donneur de la greffe qui sont spécifiquement traités pour réduire le risque de GVHD. Il devait être disponible sous forme de suspension liquide à administrer par perfusion (goutte à goutte) dans une veine.

Luxceptar a été désigné comme étant un «médicament orphelin» (médicament utilisé pour des maladies rares), à différentes dates. Des informations complémentaires sur les désignations de médicaments orphelins sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous: [prévention de la GVHD](#), septembre 2008; [traitement de la leucémie myéloblastique aiguë](#), novembre 2014; [traitement en cas de greffe de cellules souches hématopoïétiques](#), juin 2016.

Comment Luxceptar agit-il?

Bien que la réduction du nombre de lymphocytes T transplantés lors d'une greffe réduise le risque de GVHD, elle peut également réduire la capacité du greffon à se défendre contre les cellules cancéreuses et à restaurer le système immunitaire du patient. Luxceptar contient les lymphocytes T du donneur qui

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



ont été sélectivement traités afin de ne retirer que ceux qui seraient susceptibles d'attaquer les tissus du patient et de provoquer une GVHD. Leur administration peu de temps après la greffe permet de remplacer les cellules manquantes du greffon et de l'aider à combattre les infections et les cellules cancéreuses.

Quelle a été la documentation présentée par la société pour justifier sa demande?

La société a présenté les résultats d'une étude principale menée auprès de 23 patients devant recevoir une greffe de cellules souches sanguines avec déplétion des lymphocytes T provenant d'un donneur apparenté mais non identique afin de traiter des leucémies myéloblastiques ou lymphoblastiques aiguës, ou des syndromes myélodysplasiques. Le principal critère d'évaluation de l'efficacité était le nombre de décès liés à des complications de la greffe après 6 mois. La société a également fourni des données issues d'autres études au soutien de la qualité, de la sécurité et de l'efficacité du traitement.

À quel stade en était l'évaluation lors du retrait de la demande?

La demande a été retirée après que l'Agence européenne des médicaments eut évalué les informations de la société et préparé des questions à son intention. Après l'évaluation par l'Agence des réponses apportées par la société à la dernière série de questions, et la consultation ultérieure d'experts externes et de la société, certains aspects problématiques demeuraient en suspens.

Luxceptar étant un médicament de thérapie innovante, il a été évalué au nom de l'Agence par le comité des médicaments de thérapie innovante.

Quelle était la recommandation de l'Agence à ce stade?

Sur la base de l'examen des données et des réponses de la société aux questions de l'Agence, au moment du retrait, l'Agence avait quelques réserves et estimait à ce stade que Luxceptar n'aurait pas pu être autorisé pour le traitement de patients atteints de cancers du sang et recevant des greffes de cellules souches sanguines avec déplétion des lymphocytes T. L'étude principale portait sur un petit nombre de patients et sa conception n'avait pas permis à l'Agence de parvenir à une conclusion sur l'efficacité de Luxceptar. Par conséquent, au moment du retrait, l'avis de l'Agence était qu'en l'absence d'une démonstration de l'efficacité, les bénéfices de Luxceptar n'étaient pas supérieurs à ses risques.

Quels ont été les motifs invoqués par la société pour le retrait de la demande?

Dans sa [lettre](#) notifiant à l'Agence le retrait de la demande, la société a indiqué qu'elle retirait sa demande étant donné que l'Agence estimait que les éléments de preuve actuels ne suffisaient pas pour parvenir à une conclusion sur l'efficacité du traitement.

Ce retrait a-t-il des conséquences pour les patients participant aux essais cliniques?

La société a informé l'Agence qu'il n'y a aucune conséquence pour les patients actuellement inclus dans des essais cliniques utilisant Luxceptar.

Si vous participez à un essai clinique et si vous souhaitez obtenir des informations complémentaires sur votre traitement, contactez le médecin qui dirige l'essai clinique.