



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

A Luxceptar-ra (élő T-sejtek) vonatkozó forgalombahozatali engedély iránti kérelem visszavonása

A Kiadis Pharma Netherlands B.V. visszavonta a vérképzőszervi daganatokban szenvedő és bizonyos típusú vérképző őssejtátültetésben részesülő betegek kezelésére szánt Luxceptar-ra vonatkozó forgalombahozatali engedély iránti kérelmét.

A vállalat 2019. november 6-án vonta vissza a kérelmet.

Milyen típusú gyógyszer a Luxceptar és milyen alkalmazásra szánták?

A Luxceptar egy olyan gyógyszer, amelyet vérképzőszervi daganatokban szenvedő és egy bizonyos típusú vérképző őssejtátültetésben (olyan eljárás, amely során a beteg kóros vérképző sejtjeit egy megfelelő donortól származó egészségesekre cserélik) részesülő betegek túlélésének javítására fejlesztettek ki.

A Luxceptar-t az átültetéssel együtt tervezték alkalmazni bizonyos vérképzőszervi daganatok esetén, amelyek reagáltak a kemoterápiára és a sugárkezelésre (komplett remisszió), azonban magas a kiújulás kockázata.

Olyan betegeknél szánták alkalmazni, akik egy rokon, de nem azonos donortól részesülnek őssejtátültetésben, és az átültetett sejtek közül eltávolították a T-sejteket (a fehérvérsejtek egyik típusa). Az ilyen átültetett anyagban található T-sejtek megtámadhatják az egészséges sejteket az új gazdaszervezetben és súlyos mellékhatásokat okozhatnak, amelyet graft-versus-host betegségnek (GVHD) neveznek. Ezen sejtek eltávolítása csökkenti ezt a kockázatot, ugyanakkor csökkenti annak valószínűségét is, hogy az átültetés hatásos lesz.

A Luxceptar az átültetés donorjából származó T-sejteket tartalmaz, amelyeket speciális módon kezeltek a GVHD kockázatának csökkentésére. Vénába adandó infúzió készítésére szolgáló, folyékony szuszpenzió formájában lett volna kapható.

A Luxceptar-t különböző időpontokban „ritka betegség elleni gyógyszerre” minősítették. A ritka betegség elleni gyógyszerre minősítésről további információ az Ügynökség honlapján található: [GVHD megelőzése](#), 2008. szeptember; [akut mieloid leukémia kezelése](#), 2014. november; [kezelés hematopoetikus őssejtátültetésben](#), 2016. június.

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



Hogyan fejtí ki hatását a Luxceptar?

Bár az átültetett anyagban a T-sejtek számának csökkentése mérsékli a GVHD kockázatát, meg is nehezítheti az átültetett sejtek számára a daganatos sejtek elleni harcot és a beteg immunrendszerének újrakepítését. A Luxceptar a donor T-sejtjeit tartalmazza, amelyeket szelektív módon kezeltek, hogy csak azokat távolítsák el, amelyek megtámadhatják a beteg szöveteit és GVHD-t válthatnak ki. Az átültetés után rövid idővel beadva helyettesítik az átültetés során hiányzó sejteket és segítenek harcolni a fertőzések és a daganatos sejtek ellen.

Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a kérelem alátámasztására?

A vállalat egy fő vizsgálat eredményeit nyújtotta be, amelyben 23 olyan beteg vett részt, akik T-sejt-mentes vértépző őssejtátültetés előtt álltak egy rokon, de nem azonos donortól akut mieloid vagy limfoblasztos leukémia, illetve mielodiszpláziás szindróma kezelésére. A hatásosság fő mutatója az átültetés szövödményeihez köthető halálesetek száma volt 6 hónap alatt. A vállalat továbbá a minőségre, biztonságosságra és hatékonyságra vonatkozó, alátámasztó adatokat nyújtott be.

A visszavonás előtt meddig jutott el a kérelem az elbírálási folyamatban?

A kérelmet azt követően vonták vissza, hogy az Európai Gyógyszerügynökség már értékelte a vállalat által szolgáltatott információt, és kérdéseket állított össze a vállalat számára. Miután az Ügynökség értékelte a vállalatnak az utolsó kérdéssorra adott válaszait, majd konzultált külső szakértőkkel és a vállalattal, még mindig maradt néhány megoldatlan probléma.

Mivel a Luxceptar fejlett terápiás gyógyszer, azt az Ügynökség nevében a fejlett terápiákkal foglalkozó bizottság értékelte.

Mit javasolt az Ügynökség az adott időpontban?

A visszavonás időpontjában az adatok és a vállalat által az Ügynökség kérdéseire adott válaszok áttekintése alapján az Ügynökség részéről néhány aggály merült fel, és az volt az ideiglenes véleménye, hogy a Luxceptar alkalmazása nem engedélyezhető a vértépzőszervi daganatokban szenvedő és T-sejt-mentes vértépzőszervi őssejtátültetésben részesülő betegek kezelésére. A fő vizsgálatban kevés beteg vett részt és a vizsgálat elrendezése nem tette lehetővé az Ügynökség számára, hogy következtetést vonhasson le a Luxceptar hatékonyságára vonatkozóan. Ezért a visszavonás időpontjában az Ügynökség meglátása szerint a Luxceptar előnyei nem haladták meg a kockázatokat, mivel nem igazolták a hatékonyságot.

Mivel indokolta a vállalat a kérelem visszavonását?

Az Ügynökséget a kérelem visszavonásáról értesítő [levelében](#) a vállalat úgy nyilatkozott, hogy kérelmét az Ügynökség azon véleménye miatt vonja vissza, hogy a jelenlegi bizonyítékok nem voltak elégségesek a kezelés hatékonyságára vonatkozó következtetés levonásához.

Milyen következményekkel jár a visszavonás azokra a betegekre nézve, akik részt vesznek klinikai vizsgálatokban?

A vállalat tájékoztatta az Ügynökséget, hogy az elutasításnak a Luxceptar-ral végzett klinikai vizsgálatokban részt vevő betegekre nézve nincsenek következményei.

Ha Ön ilyen klinikai vizsgálatban vesz részt és kezelését illetően további információra van szüksége, vegye fel a kapcsolatot a klinikai vizsgálatban részt vevő kezelőorvosával.