



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2019. gada 15. novembris
EMA/603662/2019
EMA/H/C/002397

Luxceptar (dzīvotspējīgas T šūnas) reģistrācijas apliecības pieteikuma atsaukšana

Kiadis Pharma Netherlands B.V. atsauc savu tirdzniecības atļaujas pieteikumu par *Luxceptar* medikamentu asins vēža pacientu ārstēšanai, kuriem tiek veikta noteikta veida asins cilmes šūnu transplantācija.

Uzņēmums pieteikumu atsauca 2019. gada 6. novembrī.

Kas ir *Luxceptar* un kādam nolūkam bija paredzēts tās lietot?

Luxceptar ir zāles, kas izstrādātas, lai uzlabotu izdzīvošanas rādītājus asins vēža pacientiem, kuriem tiek veikta noteikta veida asins cilmes šūnu transplantācija (procedūra, kuras laikā aizstāj pacienta bojātās asins šūnas ar veselām šūnām no atbilstoša donora).

Bija paredzēts, ka *Luxceptar* transplantācijas laikā lietos pacienti, kuriem ir noteikta veida asins šūnu vēzis un kuri labi reaģējuši uz ķīmijterapiju un staru terapiju (pilnīga remisija), taču kuriem pastāv augsts risks, ka slimība atgriezīsies.

Bija paredzēts, ka medikamentu lietos pacienti, kuri saņem transplantātu no radniecīga, taču ne identiska donora, ja no šī transplantāta izņemtas T šūnas (noteikta veida baltās asins šūnas). Šādu transplantātu T šūnas var uzbrukt saņēmēja veselajām šūnām un izraisīt nopietnas blaknes, ko sauc par alotransplantācijas slimību (GVHD). Attiecīgo asins šūnu izņemšana samazina šo risku, taču samazina arī iespēju, ka transplantāts būs efektīvs.

Luxceptar satur transplantāta donora T šūnas, kas īpaši apstrādātas, lai samazinātu GVHD risku. Bija paredzēts, ka tās būs pieejamas kā koncentrāts infūziju šķīduma pagatavošanai ievadīšanai vēnā (pa pilienam).

Dažādos datumos *Luxceptar* tika piešķirts reti sastopamu slimību ārstēšanai paredzētu zāļu statuss. Sīkāka informācija par retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu statusa piešķiršanu ir atrodama Eiropas Zāļu aģentūras tīmekļa vietnē: [GVHD novēršana](#) 2008. gada septembris; [akūtas mieloiekozes ārstēšana](#) 2014. gada novembris [ārstēšana ar hematopoētisko cilmes šūnu transplantāciju](#) 2016. gada jūnijs.

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



Kā *Luxceptar* darbojas?

Lai gan samazinot transplantāta T šūnu skaitu, samazinās GVHD risks, taču līdz ar to transplantātam ir grūtāk cīnīties pret vēža šūnām un atjaunot pacienta imūnsistēmu. *Luxceptar* satur donora T šūnas, kas selektīvi apstrādātas, lai izņemtu tikai tās, kas var uzbrukt pacienta audiem un izraisīt GVHD. Saņemot T šūnas neilgi pēc transplantācijas, tiek aizstātas transplantātā trūkstošās šūnas, palīdzot tam cīnīties pret infekcijām un vēža šūnām.

Kādus dokumentus uzņēmums iesniedza pieteikuma pamatošanai?

Uzņēmums sniedza rezultātus, kas iegūti pētījumā, kurā piedalījās 23 pacienti, kuriem bija jāsaņem asins šūnu transplantāts bez T šūnām no radniecīga, taču ne identiska donora, lai ārstētu akūtu mieloīdo vai limfoblastisko leukēmiju vai mielodisplastiskos sindromus. Galvenais efektivitātes rādītājs bija nāves gadījumu skaits saistībā ar transplantācijas komplikācijām sešu mēnešu laikā. Uzņēmums sniedza arī citos pētījumos iegūtus papildu datus par kvalitāti, drošību un efektivitāti.

Kurā pieteikuma vērtēšanas posmā pieteikumu atsauca?

Pieteikumu atsauca, kad Eiropas Zāļu aģentūra bija izvērtējusi uzņēmuma sākotnēji iesniegto informāciju un sagatavojusi jautājumus uzņēmumam. Kad Aģentūra bija izvērtējusi uzņēmuma atbildes uz pēdējās kārtas jautājumiem un pēc tam konsultējusies ar ārējiem ekspertiem un uzņēmumu, joprojām pastāvēja neatrisināti jautājumi.

Tā kā *Luxceptar* ir uzlabotas terapijas zāles, Uzlaboto terapiju komiteja veica to novērtēšanu Aģentūras uzdevumā.

Kāds bija Aģentūras ieteikums tajā laikā?

Pamatojoties uz izskatītajiem datiem un uzņēmuma atbildēm uz Aģentūras jautājumiem, pieteikuma atsaukuma laikā Aģentūrai bija noteiktas bažas un tās pagaidu lēmums bija neapstiprināt *Luxceptar* asins vēža pacientu ārstēšanai, kuri saņem asins šūnu transplantātus bez T šūnām. Galvenajā pētījumā piedalījās neliels skaits pacientu, un tā uzbūve neļāva Aģentūrai izdarīt secinājumus par *Luxceptar* efektivitāti. Tāpēc atsaukšanas brīdī aģentūra uzskatīja, ka *Luxceptar* sniegtie ieguvumi neatsver to radīto risku, jo nav pierādīta to efektivitāte.

Kā uzņēmums pamatoja pieteikuma atsaukšanu?

Savā [vēstulē](#) Aģentūrai, informējot par pieteikuma atsaukšanu, uzņēmums norādīja, ka atsauc savu pieteikumu tādēļ, ka Aģentūra uzskatīja, ka esošie pierādījumi nav pietiekami, lai noteiktu ārstēšanas efektivitāti.

Vai šis atsaukums ietekmēs pacientus, kuri piedalās klīniskajos pētījumos?

Uzņēmums informēja Aģentūru, ka tas neietekmē pacientus, kuri pašlaik piedalās *Luxceptar* klīniskajos pētījumos.

Ja jūs pašlaik piedalāties klīniskā pētījumā un vēlaties saņemt plašāku informāciju par terapiju, jautājiet savam klīniskā pētījuma ārstam.