



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Intrekking van de aanvraag van een vergunning voor het in de handel brengen van Luxceptar (levensvatbare T-cellen)

Kiadis Pharma Netherlands B.V. heeft haar aanvraag voor een vergunning voor het in de handel brengen van Luxceptar ingetrokken. Luxceptar was bedoeld voor de behandeling van patiënten met bloedkanker die een bepaalde vorm van bloedstamceltransplantatie ondergaan.

De firma heeft de aanvraag op 6 november 2019 ingetrokken.

Wat is Luxceptar en voor welke behandeling was het bedoeld?

Luxceptar is een geneesmiddel dat is ontwikkeld om de overleving te verbeteren bij patiënten met bloedkanker die worden behandeld met een specifieke vorm van bloedstamceltransplantatie (een procedure waarbij ongezonde bloedvormende cellen bij een patiënt worden vervangen door gezonde cellen van een geschikte donor).

Luxceptar zou worden gebruikt in combinatie met de transplantatie bij patiënten met bepaalde vormen van bloedcelkanker die reageerden op chemotherapie en radiotherapie (volledige remissie), maar bij wie de kans op terugkeer groot is.

Het zou worden gebruikt bij patiënten die een transplantaat toegediend krijgen van een verwante maar niet-identieke donor, waaruit de T-cellen (een type witte bloedcellen) zijn verwijderd. T-cellen van een dergelijk transplantaat kunnen in hun nieuwe gastheer gezonde cellen aanvallen en ernstige bijwerkingen veroorzaken die worden aangeduid als graft-versus-host-ziekte (GVHD); verwijdering van deze T-cellen verkleint dit risico, maar verkleint ook de kans dat de transplantatie doeltreffend is.

Luxceptar bevat T-cellen van de donor, die speciaal zijn behandeld om het risico van GVHD te beperken. Het zou verkrijgbaar zijn in de vorm van een vloeibare suspensie voor toediening via infusie (indruppeling) in een ader.

Luxceptar werd op diverse data aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame ziekten). Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel vindt u op de website van het Geneesmiddelenbureau: [preventie van GVHD](#), september 2008; [behandeling van acute myeloïde leukemie](#), november 2014; [behandeling bij hematopoëtische stamceltransplantatie](#), juni 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



Hoe werkt Luxceptar?

Hoewel een verlaging van het aantal getransplanteerde T-cellen bij een transplantatie het risico op GVHD verkleint, kan het voor het transplantaat ook moeilijker worden om de kankercellen te bestrijden en het immuunsysteem van de patiënt weer op te bouwen. Luxceptar bevat T-cellen van de donor die selectief zijn behandeld waarbij alleen de cellen zijn verwijderd die het weefsel van de patiënt kunnen aanvallen en GVHD kunnen veroorzaken. Door ze kort na de transplantatie toe te dienen worden de ontbrekende cellen in het transplantaat aangevuld; dit helpt het transplantaat om infecties en kankercellen te bestrijden.

Welke documentatie heeft de firma ingediend als ondersteuning van de aanvraag?

De firma verstrekte resultaten van een hoofdonderzoek onder 23 patiënten die een bloedstamceltransplantaat toegediend kregen van een verwante maar niet-identieke donor, waaruit de T-cellen waren verwijderd, voor de behandeling van acute myeloïde of lymfatische leukemie of myelodysplastische syndromen. De voornaamste graadmeter voor de werkzaamheid was de sterfte in verband met complicaties na transplantatie na zes maanden. De firma verstrekte ook ondersteunende gegevens over kwaliteit, veiligheid en werkzaamheid afkomstig van andere studies.

In welke beoordelingsfase werd de aanvraag ingetrokken?

De firma trok de aanvraag in nadat het Europees Geneesmiddelenbureau haar informatie had bestudeerd en daarop vragen had opgesteld. Nadat het Geneesmiddelenbureau de antwoorden van de firma op de laatste reeks vragen had beoordeeld en vervolgens externe deskundigen en de firma had geraadpleegd, waren er toch nog onopgeloste punten.

Aangezien Luxceptar een geneesmiddel voor geavanceerde therapie is, werd het namens het Geneesmiddelenbureau beoordeeld door het Comité voor geavanceerde therapieën.

Wat was de aanbeveling van het Geneesmiddelenbureau op dat moment?

Op basis van de bestudering van de gegevens en de antwoorden van de firma op de vragen van het Geneesmiddelenbureau, had het Bureau op het ogenblik van de intrekking enkele bedenkingen en was het de voorlopige mening toegedaan dat Luxceptar voor de behandeling van patiënten met bloedkanker die een bloedstamceltransplantaat toegediend krijgen waaruit de T-cellen zijn verwijderd, niet kon worden goedgekeurd. Bij het hoofdonderzoek was een klein aantal patiënten betrokken en door de onderzoeksopzet kon het Geneesmiddelenbureau niet tot een conclusie komen over de werkzaamheid van Luxceptar. Daarom was het Geneesmiddelenbureau op het ogenblik van de intrekking van mening dat de voordelen van Luxceptar niet opwogen tegen de risico's ervan, omdat de werkzaamheid niet was aangetoond.

Welke redenen gaf de firma voor het intrekken van de aanvraag?

In de [brief](#) waarin de firma het Geneesmiddelenbureau op de hoogte brengt van de intrekking van de aanvraag, stelde zij dat zij de aanvraag introk omdat het Geneesmiddelenbureau van mening was dat het huidige bewijs niet voldoende was om conclusies te trekken over de werkzaamheid van de behandeling.

Heeft deze intrekking gevolgen voor patiënten die deelnemen aan klinische proeven?

De firma deelde het Geneesmiddelenbureau mee dat er geen gevolgen zijn voor patiënten die deelnemen aan klinische proeven met Luxceptar.

Indien u deelneemt aan een klinische proef en meer informatie wenst over uw behandeling, neemt u dan contact op met uw onderzoeksarts.