



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Retragerea cererii de autorizare de punere pe piață pentru Luxceptar (celule T viabile)

Kiadis Pharma Netherlands B.V. și-a retras cererea de autorizare de punere pe piață pentru Luxceptar, pentru tratamentul pacienților cu cancer ale sângelui care primesc un tip de transplant de celule stem sanguine.

Compania și-a retras cererea la 6 noiembrie 2019.

Ce este Luxceptar și pentru ce ar fi trebuit să se utilizeze?

Luxceptar este un medicament dezvoltat pentru a îmbunătăți rata de supraviețuire la pacienții cu cancer ale sângelui aflați în curs de tratament cu un tip specific de transplant de celule stem (o procedură de înlocuire a celulelor bolnave care formează sângele pacientului cu unele noi, de la un donator compatibil).

Luxceptar ar fi trebuit să se utilizeze, în asociere cu transplantul, la pacienții cu anumite tipuri de cancer ale sângelui care au răspuns la tratamentele chimioterapice și cu radiații (remisie completă), dar care prezintă un risc mare de recidivă.

Medicamentul ar fi trebuit să se utilizeze la pacienții care primesc de la un donator compatibil, dar nu identic, un transplant din care au fost eliminate celulele T (un tip de globule albe). Într-un transplant de acest tip, celulele T pot ataca celulele sănătoase din noua gazdă și pot provoca reacții adverse grave, numite boala grefă-contra-gazdă (GVHD); eliminarea lor reduce acest risc, dar reduce și probabilitatea ca transplantul să fie eficace.

Luxceptar conține celule T de la donator, tratate special pentru a reduce riscul de GVHD. Medicamentul urma să fie disponibil sub formă de suspensie lichidă administrată prin perfuzie intravenoasă (picurare în venă).

Luxceptar a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament folosit în bolile rare) la diferite date. Informații suplimentare privind desemnările ca medicament orfan sunt disponibile pe site-ul agenției: [prevenirea GVHD](#), septembrie 2008; [tratarea leucemiei mieloide acute](#), noiembrie 2014; [tratament pentru transplantul de celule stem hematopoietice](#), iunie 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



Cum acționează Luxceptar?

Deși reducerea numărului de celule T transplantate micșorează riscul de GVHD, acest lucru poate duce și la acțiunea mai dificilă a transplantului de combatere a celulelor canceroase și de reconstruire a sistemului imunitar al pacientului. Luxceptar conține celulele T ale donatorului, care au fost tratate în mod selectiv pentru a le elimina numai pe cele care ar putea ataca țesutul pacientului și ar putea provoca GVHD. Prin administrarea lor imediat după transplant sunt înlocuite celulele lipsă din cadrul transplantului, care este ajutat să combată infecțiile și celulele canceroase.

Ce documentație a prezentat compania în sprijinul cererii sale?

Compania a prezentat rezultatele unui studiu principal care a cuprins 23 de pacienți care urmau să primească din partea unui donator compatibil, dar nu identic, un transplant de celule stem fără celule T pentru tratarea leucemiei mieloide acute sau a celei limfoblastice acute, ori a sindroamelor mielodisplazice. Principala măsură a eficacității a fost numărul de decese asociate cu complicațiile datorate transplantului, după 6 luni. Compania a prezentat și date justificative privind calitatea, siguranța și eficacitatea, obținute din alte studii.

În ce stadiu se afla evaluarea în momentul retragerii cererii?

Cererea a fost retrasă după ce Agenția Europeană pentru Medicamente evaluase informațiile prezentate de companie și formulase întrebări pentru aceasta. După evaluarea de către agenție a răspunsurilor companiei la ultima rundă de întrebări și după consultarea ulterioară cu experți externi și cu compania, existau încă unele probleme nerezolvate.

Deoarece este un medicament pentru terapie avansată, Luxceptar a fost evaluat în numele agenției de Comitetul pentru terapii avansate.

Care a fost recomandarea agenției în momentul respectiv?

Pe baza analizării datelor și a răspunsului companiei la întrebările agenției, în momentul retragerii cererii agenția avea unele motive de îngrijorare și a dat un aviz provizoriu potrivit căruia Luxceptar nu putea fi autorizat pentru tratarea pacienților cu cancer al sângelui care primesc transplant de celule stem fără celule T. Studiul principal a cuprins un număr mic de pacienți, iar modul în care a fost conceput nu a permis agenției să formuleze o concluzie cu privire la eficacitatea Luxceptar. Prin urmare, la momentul retragerii cererii, în opinia agenției, din cauză lipsei unei eficacități dovedite, beneficiile Luxceptar nu depășeau riscurile asociate.

Care au fost motivele invocate de companie pentru retragerea cererii?

În [scrisoarea](#) prin care înștiințează agenția cu privire la retragerea cererii, compania a declarat că își retrage cererea din cauza opiniei agenției conform căreia dovezile actuale nu sunt suficiente pentru formularea unei concluzii cu privire la eficacitatea tratamentului.

Retragerea acestei cereri afectează pacienții din studii clinice?

Compania a informat agenția că nu există consecințe pentru pacienții aflați în studii clinice cu Luxceptar.

Dacă participați la un studiu clinic și aveți nevoie de informații suplimentare despre tratamentul dumneavoastră, adresați-vă medicului din cadrul studiului respectiv.