



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Umik vloge za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Luxceptar (viabilni limfociti T)

Družba Kiadis Pharma Netherlands B.V. je umaknila vlogo za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Luxceptar za zdravljenje bolnikov s krvnimi raki, ki prejmejo vrsto presaditve matičnih krvnih celic.

Podjetje je svojo vlogo umaknilo 6. novembra 2019.

Kaj je zdravilo Luxceptar in za kaj naj bi se uporabljalo?

Zdravilo Luxceptar so razvili za izboljšanje preživetja pri bolnikih s krvnimi raki, ki se zdravijo s posebno vrsto presaditve matičnih krvnih celic (postopkom, pri katerem se bolnikove nezdrave krvotvorne celice zamenjajo z zdravimi celicami, ki se pridobijo od ustreznega darovalca).

Zdravilo Luxceptar naj bi se uporabljalo v kombinaciji s presaditvijo pri bolnikih z določenimi raki krvnih celic, ki so se odzvali na kemoterapijo in obsevanje (so v popolni remisiji), vendar so izpostavljeni velikemu tveganju ponovitve bolezni.

Uporabljalo naj bi se pri bolnikih, ki so prestali presaditev iz sorodnega, vendar ne identičnega darovalca, ki so mu odstranili limfocite T (vrsta belih krvnih celic). Limfociti T lahko pri taki presaditvi napadejo zdrave celice v svojem novem gostitelju in povzročijo resne neželene učinke, imenovane reakcija presadka proti gostitelju; njihova odstranitev zmanjša to tveganje, vendar prav tako zmanjša verjetnost učinkovitosti presaditve.

Zdravilo Luxceptar vsebuje limfocite T iz darovalca presadka, ki so posebej obdelani tako, da zmanjšajo tveganje reakcije presadka proti gostitelju. Na voljo naj bi bilo v obliki tekoče suspenzije, ki bi se dajala z infundiranjem (kapalno infuzijo) v veno.

Zdravilo Luxceptar je bilo ob različnih datumih določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni). Več informacij o določitvah zdravila sirote je voljo na spletišču agencije: [preprečevanje reakcije presadka proti gostitelju](#), september 2008; [zdravljenje akutne mieloične levkemije](#), november 2014; [zdravljenje pri presaditvi hematopoetskih matičnih celic](#), junij 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



Kako zdravilo Luxceptar deluje?

Čeprav zmanjšanje števila presajenih limfocitov T v presadku zmanjša tveganje reakcije presadka proti gostitelju, prav tako oteži boj presadka proti rakavim celicam ter ponovno vzpostavitev bolnikovega imunskega sistema. Zdravilo Luxceptar vsebuje darovalčeve limfocite T, ki so jih selektivno obdelali tako, da so odstranili samo celice, ki bi lahko napadle bolnikovo tkivo in povzročile reakcijo presadka proti gostitelju. Z njihovim dajanjem kmalu po presaditvi se zamenjajo manjkajoče celice v presadku, kar pomaga pri boju proti okužbam in rakavim celicam.

Katero dokumentacijo je družba predložila v podporo svoji vlogi?

Družba je predložila rezultate glavne študije, ki je vključevala 23 bolnikov, ki so prejeli presadek matičnih krvnih celic brez limfocitov T iz sorodnega, vendar ne identičnega darovalca, za zdravljenje akutne mieloidne ali limfoblastne levkemije ali mielodisplastičnih sindromov. Glavno merilo učinkovitosti je bilo število smrti, povezanih z zapleti presaditve po šest mesecih. Družba je predložila tudi podporne podatke o kakovosti, varnosti in učinkovitosti iz drugih študij.

Kako daleč je bil postopek ocenjevanja vloge ob njenem umiku?

Vlogo so umaknili po tem, ko je Evropska agencija za zdravila že ocenila začetno dokumentacijo, ki jo je predložila družba, in oblikovala seznam vprašanj. Potem ko je agencija ocenila odgovore družbe na zadnji sklop vprašanj in se posvetovala z zunanjimi strokovnjaki ter družbo, so nekatera vprašanja še vedno ostala nerešena.

Zdravilo Luxceptar je zdravilo za napredno zdravljenje, zato ga je v imenu agencije ocenjeval Odbor za napredno zdravljenje.

Kakšno je bilo takrat priporočilo agencije?

Agencija je na podlagi pregleda podatkov in odgovorov družbe na sezname vprašanj, ki jih je zastavila, ob umiku vloge izrazila določene zadržke in začasno menila, da zdravilo Luxceptar ni mogoče odobriti za zdravljenje bolnikov s krvnimi raki, ki prejmejo presadke matičnih krvnih celic brez limfocitov T. Glavna študija je vključevala malo bolnikov, njena zasnova pa agenciji ni omogočila sklepa o učinkovitosti zdravila Luxceptar. Zato je agencija ob umiku vloge menila, da koristi zdravila Luxceptar zaradi pomanjkanja dokazov o učinkovitosti ne odtehtajo z njim povezanih tveganj.

Kakšni so bili razlogi družbe za umik vloge?

Družba je v [dopisu](#), s katerim je agencijo obvestila o umiku vloge, navedla, da umika vlogo, ker agencija trenutno meni, da ni dovolj dokazov, na podlagi katerih bi lahko sklepala glede učinkovitosti zdravljenja.

Kakšne so posledice umika vloge za bolnike, ki sodelujejo v kliničnih preskušanjih?

Družba je agencijo obvestila, da umik vloge nima nobenih posledic za bolnike, ki trenutno sodelujejo v kliničnih preskušanjih z zdravilom Luxceptar.

Če ste vključeni v klinično preskušanje in potrebujete več informacij o zdravljenju, se obrnite na zdravnika, ki sodeluje v kliničnem preskušanju.