



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

Den 22. juli 2016  
EMA/579466/2016  
EMA/H/C/004144

## Spørgsmål og svar

---

# Tilbagetrækning af ansøgningen om markedsføringstilladelse for Begedina (begelomab)

Den 4. juli 2016 meddelte Adienne S.r.l. S.U. officielt Udvalget for Lægemidler til Mennesker (CHMP), at virksomheden ønsker at trække sin ansøgning tilbage om markedsføringstilladelse for Begedina til behandling af transplantat-mod-vært-sygdom.

## Hvad er Begedina?

Begedina er et lægemiddel, der indeholder det aktive stof begelomab. Det skulle have kunnet fås som et koncentrat, der blandes til en opløsning til infusion (drop) i en vene.

## Hvad forventedes Begedina anvendt til?

Begedina forventedes anvendt til akut transplantat-mod-vært-sygdom (en sygdom, hvor transplanterede celler angriber patientens krop) hos voksne, som har fået transplanteret bloddannende (hæmatopoietiske) stamceller (celler, der kan udvikle sig til forskellige typer af blodceller) fra en donor. Lægemidlet skulle anvendes hos patienter, hos hvem steroider ikke virkede på sygdommen.

Begedina blev den 26. november 2010 udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" til behandling af transplantat-mod-vært-sygdom. Flere oplysninger om udpegelsen til lægemiddel til sjældne sygdomme findes [her](#).

## Hvordan forventedes Begedina at virke?

Det aktive stof i Begedina, begelomab, er et protein af typen monoklonalt antistof. Det er fremstillet, så det bindes til receptoren CD26, der findes på T-celler. Disse er en type hvide blodlegemer, der spiller en rolle ved transplantat-mod-vært-sygdom. Ved at bindes til CD26 forventes dette lægemiddel at nedsætte T-cellernes formering. Dette forventes at nedsætte antallet og aktiviteten af de T-celler fra



transplantatet, som angriber patientens organer, og derved at kontrollere transplantat-mod-vært-sygdommen.

### **Hvilken dokumentation fremlagde virksomheden i forbindelse med ansøgningen?**

Virksomheden fremlagde resultaterne af to undersøgelser med Beqedina med deltagelse af i alt 29 voksne med akut transplantat-mod-vært-sygdom, der ikke reagerede på behandling med steroider. I undersøgelserne blev Beqedina ikke sammenlignet med nogen anden behandling.

### **Hvor langt var vurderingen af ansøgningen nået, da den blev trukket tilbage?**

Ansøgningen blev trukket tilbage, efter at CHMP havde vurderet den dokumentation, virksomheden oprindeligt havde fremlagt, og udarbejdet en liste med spørgsmål. Virksomheden havde endnu ikke besvaret spørgsmålene, da ansøgningen blev trukket tilbage.

### **Hvad anbefalede CHMP på daværende tidspunkt?**

På baggrund af gennemgangen af de foreliggende data på tidspunktet for tilbagetrækningen af ansøgningen havde CHMP visse betænkeligheder og var af den foreløbige opfattelse, at Beqedina ikke kunne være blevet godkendt til behandling af akut transplantat-mod-vært-sygdom, der ikke reagerede på behandling med steroider.

CHMP fandt, at de forelagte data var utilstrækkelige til at påvise en gavnlig virkning af Beqedina. Desuden var lægemidlets sikkerhedsprofil og den måde, det forventes at virke i kroppen på, ikke blevet tilstrækkeligt karakteriseret. Der blev også konstateret mangler i fremstillingsprocessen for lægemidlet.

Derfor var CHMP på tidspunktet for tilbagetrækningen af den opfattelse, at virksomheden ikke havde fremlagt tilstrækkelige oplysninger til at dokumentere ansøgningen om Beqedina.

### **Hvilke begrundelser gav virksomheden for tilbagetrækningen af ansøgningen?**

I brevet, hvor EMA underrettedes om tilbagetrækningen af ansøgningen, vedgik virksomheden, at der behøves supplerende data fra en bekræftende undersøgelse.

Brevet om tilbagetrækningen kan ses [her](#).

### **Hvilke konsekvenser har tilbagetrækningen for patienter, der deltager i kliniske undersøgelser med Beqedina?**

Virksomheden har til CHMP oplyst, at beslutningen ikke vil få konsekvenser for patienter, der på nuværende tidspunkt deltager i kliniske undersøgelser med Beqedina.

Hvis du deltager i en klinisk undersøgelse med Beqedina og har behov for mere information om din behandling, kan du kontakte den læge, der giver dig behandlingen.