



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

22 luglio 2016  
EMA/579453/2016  
EMA/H/C/004144

## Domande e risposte

---

# Ritiro della domanda di autorizzazione all'immissione in commercio per Begedina (begelomab)

Il 4 luglio 2016 Adienne S.r.l. S.U. ha notificato ufficialmente al comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) la sua intenzione di ritirare la domanda di autorizzazione all'immissione in commercio per Begedina, per il trattamento della malattia del trapianto contro l'ospite.

## Che cos'è Begedina?

Begedina è un medicinale che contiene il principio attivo begelomab. Doveva essere disponibile come concentrato per soluzione per infusione endovenosa (iniezione goccia a goccia in vena).

## Per che cosa avrebbe dovuto essere usata Begedina?

Begedina avrebbe dovuto essere utilizzata per il trattamento della malattia acuta del trapianto contro l'ospite (una patologia in cui le cellule trapiantate attaccano il corpo del paziente) in adulti che sono stati sottoposti a trapianto di cellule progenitrici ematopoietiche (trapianto di cellule che possono svilupparsi in diversi tipi di cellule del sangue) da donatore. Il medicinale era destinato all'uso in pazienti la cui malattia non ha risposto al trattamento con steroidi.

Begedina è stata qualificata come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 26 novembre 2010 per il trattamento della malattia del trapianto contro l'ospite. Ulteriori informazioni sulla designazione di medicinale orfano sono disponibili [qui](#).

## Come avrebbe dovuto agire Begedina?

Begelomab, il principio attivo di Begedina, è un anticorpo monoclonale (un tipo di proteina) progettato per legarsi a un recettore denominato CD26, presente sulle cellule T. Si tratta di un tipo di globuli bianchi che svolgono un ruolo nella malattia del trapianto contro l'ospite. Legandosi al CD26, questo medicinale dovrebbe ridurre la velocità con cui si moltiplicano le cellule T. Questo dovrebbe ridurre il



numero e l'attività delle cellule T da trapianto che attaccano gli organi del paziente, contribuendo così a controllare la malattia del trapianto contro l'ospite.

### **Quale documentazione ha presentato la ditta a sostegno della domanda?**

La ditta ha presentato i risultati di due studi con Beqedina condotti su un totale di 29 adulti con malattia acuta del trapianto contro l'ospite che non hanno risposto al trattamento con steroidi. In questi studi Beqedina non è stata confrontata con altri trattamenti.

### **A che punto della valutazione si trovava la domanda quando è stata ritirata?**

La domanda è stata ritirata dopo che il CHMP aveva valutato la documentazione iniziale fornita dalla ditta e aveva formulato una serie di domande. Al momento del ritiro la ditta non aveva ancora risposto alle domande.

### **Qual era la raccomandazione del CHMP a quel punto?**

In base all'esame dei dati disponibili, al momento del ritiro della domanda, il CHMP aveva alcuni dubbi ed era provvisoriamente del parere che Beqedina non potesse essere autorizzata per il trattamento della malattia acuta del trapianto contro l'ospite che non ha risposto al trattamento con steroidi.

Il CHMP riteneva che i dati forniti fossero insufficienti a dimostrare un effetto positivo di Beqedina. Inoltre, il profilo di sicurezza e il modo in cui il medicinale avrebbe dovuto agire nell'organismo non erano stati sufficientemente caratterizzati. Sussistevano altresì carenze individuate nel processo di fabbricazione del medicinale.

Pertanto, al momento del ritiro della domanda, il CHMP riteneva che la ditta non avesse fornito dati sufficienti a sostegno della domanda per Beqedina.

### **Quali sono i motivi invocati dalla ditta per il ritiro della domanda?**

Nella lettera con cui notifica all'Agenzia il ritiro della domanda, la ditta ha dichiarato di riconoscere la necessità di ottenere ulteriori dati da uno studio confermativo.

La lettera di ritiro della domanda è consultabile [qui](#).

### **Quali sono le conseguenze del ritiro per i pazienti inseriti in studi clinici?**

La ditta ha informato il CHMP che non vi sono conseguenze per i pazienti attualmente inseriti in studi clinici con Beqedina.

Le persone inserite in uno studio clinico che abbiano bisogno di maggiori informazioni sul loro trattamento possono consultare il medico che le sta trattando.