



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

22 lipca 2016 r.
EMA/579458/2016
EMA/H/C/004144

Pytania i odpowiedzi

Wycofanie wniosku o dopuszczenie do obrotu dotyczącego produktu Begedina (begelomab)

W dniu 4 lipca 2016 r. spółka Adienne S.r.l. S.U. oficjalnie powiadomiła Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) o zamiarze wycofania wniosku o dopuszczenie do obrotu produktu leczniczego Begedina, który miał być stosowany w leczeniu choroby przeszczep przeciwko gospodarzowi.

Co to jest lek Begedina?

Produkt Begedina jest lekiem zawierającym substancję czynną begelomab. Miał on być dostępny w postaci koncentratu, z którego sporządza się roztwór do wlewu dożylnego.

W jakim celu miał być stosowany lek Begedina?

Lek Begedina miał być stosowany w leczeniu ostrej choroby przeszczep przeciwko gospodarzowi (choroby, w której przeszczepione komórki atakują organizm pacjenta) u osób dorosłych, u których przeprowadzono przeszczepienie hematopoetycznych komórek progenitorowych (przeszczepienie komórek, które mogą rozwinąć się do różnego rodzaju komórek krwi) od dawcy. Lek ten miał być stosowany u pacjentów, u których choroba nie reagowała na leczenie steroidami.

W dniu 26 listopada 2010 r. lek Begedina uznano za „lek sierocy” (lek stosowany w rzadkich chorobach) w leczeniu choroby przeszczep przeciwko gospodarzowi. Więcej informacji na temat uznania za lek sierocy można znaleźć [tutaj](#).

Jakie było oczekiwane działanie leku Begedina?

Substancja czynna leku Begedina, begelomab, jest przeciwciałem monoklonalnym (rodzajem białka), które zaprojektowano w taki sposób, aby łączyło się z receptorem o nazwie CD26, obecnym na limfocytach T. Jest to typ białych komórek krwi, który odgrywa rolę w chorobie przeszczep przeciwko



gospodarzowi. Lek ten, łącząc się z CD26, ma zmniejszać tempo podziałów limfocytów T. Oczekuje się, że zmniejszy to liczbę i aktywność limfocytów T pochodzących z przeszczepu, które atakują narządy pacjenta, w ten sposób pomagając w kontroli choroby przeszczep przeciwko gospodarzowi.

Jaka dokumentacja została przedstawiona przez spółkę na poparcie wniosku?

Spółka przedstawiła wyniki dwóch badań z użyciem produktu Begedina na łącznej liczbie 29 dorosłych osób z chorobą przeszczep przeciwko gospodarzowi, która nie reagowała na leczenie steroidami. W badaniach tych produkt Begedina nie był porównywany z żadną inną metodą leczenia.

Na jakim etapie znajdowała się ocena w momencie wycofania wniosku?

Wniosek został wycofany po przeprowadzeniu przez CHMP oceny dokumentacji wstępnej przedstawionej przez spółkę i sformułowaniu listy pytań. Spółka wycofała wniosek przed udzieleniem odpowiedzi na pytania.

Jakie zalecenia wydał wówczas CHMP?

W momencie wycofania wniosku CHMP zgłosił zastrzeżenia na podstawie przeglądu danych i wstępna opinia wskazywała, że produkt Begedina nie może być zatwierdzony w leczeniu choroby przeszczep przeciwko gospodarzowi, która nie reagowała na leczenie steroidami.

Według CHMP nie przedstawiono wystarczającej ilości danych dowodzących korzystnego efektu leku Begedina. Ponadto profil bezpieczeństwa i oczekiwany sposób działania leku w organizmie nie zostały dostatecznie opisane. Stwierdzono także niedociągnięcia w procesie produkcji tego leku.

Dlatego też w momencie wycofania wniosku według CHMP spółka nie dostarczyła wystarczającej ilości danych na poparcie wniosku dotyczącego produktu Begedina.

Jakie przyczyny wycofania wniosku podała spółka?

W piśmie informującym Agencję o wycofaniu wniosku spółka potwierdziła uznanie potrzeby pozyskania dodatkowych danych z badania potwierdzającego.

Pismo powiadamiające o wycofaniu wniosku jest dostępne [tutaj](#).

Jakie są skutki wycofania dla pacjentów uczestniczących w badaniach klinicznych?

Spółka poinformowała CHMP, że nie ma żadnych skutków dla pacjentów obecnie biorących udział w badaniach klinicznych z użyciem produktu Begedina.

W przypadku uczestnictwa w badaniach klinicznych i potrzeby dokładniejszych informacji o leczeniu należy skontaktować się z lekarzem prowadzącym.