



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

22 iulie 2016
EMA/579460/2016
EMA/H/C/004144

Întrebări și răspunsuri

Retragerea cererii de autorizare de introducere pe piață pentru Begedina (begelomab)

La data de 4 iulie 2016, Adienne S.r.l. S.U. a informat oficial Comitetul pentru medicamente de uz uman (CHMP) că dorește să își retragă cererea de autorizare de introducere pe piață pentru Begedina, pentru tratamentul bolii grefă contra gazdă.

Ce este Begedina?

Begedina este un medicament care conține substanța activă begelomab. Medicamentul urma să fie disponibil sub formă de concentrat pentru soluție perfuzabilă (picurare în venă).

Pentru ce ar fi trebuit să se utilizeze Begedina?

Begedina ar fi trebuit să se utilizeze în tratamentul bolii grefă contra gazdă acute (o afecțiune în care celulele transplantate atacă organismul pacientului) la adulți care au primit transplant cu celule hematopoietice progenitoare (transplant de celule care evoluează în diferite tipuri de celule sanguine) de la un donator. Medicamentul ar fi trebuit să fie utilizat la pacienți care nu au răspuns la tratamentul cu steroizi.

Begedina a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament folosit în bolile rare) la data de 26 noiembrie 2010, pentru tratamentul bolii grefă contra gazdă. Informații suplimentare privind desemnarea ca medicament orfan sunt disponibile [aici](#).

Cum ar fi trebuit să acționeze Begedina?

Begelomab, substanța activă din Begedina, este un anticorp monoclonal (un tip de proteină) care a fost conceput pentru a se lega de proteina CD26, care se găsește în celulele T. Acestea sunt un tip de globule albe care joacă un rol în boala grefă contra gazdă. Prin legarea la CD26, acest medicament ar trebui să reducă rata de înmulțire a celulelor T. Astfel, ar trebui să se reducă numărul și activitatea



celulelor T din transplant care atacă organele pacientului, contribuind la controlul bolii grefă contra gazdă.

Ce documentație a prezentat compania în sprijinul cererii sale?

Compania a prezentat rezultatele obținute din două studii derulate pe Begedina, la care au participat în total 29 de adulți cu boală grefă contra gazdă acută, care nu au răspuns la tratamentul cu steroizi. În aceste studii, Begedina nu a fost comparat cu niciun alt tratament.

În ce stadiu se afla evaluarea în momentul retragerii cererii?

Cererea a fost retrasă după ce CHMP finalizase evaluarea documentației inițiale prezentate de companie și formulase o listă de întrebări. În momentul retragerii cererii, compania nu furnizase încă răspunsurile la întrebări.

Care a fost recomandarea CHMP în momentul respectiv?

Pe baza analizării datelor disponibile, CHMP avea unele motive de îngrijorare la momentul retragerii cererii și a emis un aviz provizoriu potrivit căruia Begedina nu putea fi aprobat pentru tratamentul pacienților cu boală grefă contra gazdă acută care nu au răspuns la tratamentul cu steroizi.

CHMP a considerat că datele furnizate sunt insuficiente pentru a demonstra un efect benefic al Begedina. În plus, nu s-au obținut informații suficiente privind profilul de siguranță și modul în care ar fi trebuit să acționeze medicamentul. S-au identificat deficiențe și în procesul de fabricație a medicamentului.

Prin urmare, la momentul retragerii cererii, în opinia CHMP, compania nu prezentase suficiente date în sprijinul cererii pentru autorizarea Begedina.

Care au fost motivele invocate de companie pentru retragerea cererii?

În scrisoarea prin care compania înștiințează agenția cu privire la retragerea cererii, compania a declarat că ia cunoștință de necesitatea de a obține date suplimentare dintr-un studiu de confirmare.

Scrisoarea de retragere a cererii este disponibilă [aici](#).

Care sunt consecințele retragerii cererii pentru pacienții implicați în studii clinice?

Compania a informat CHMP că nu există consecințe pentru pacienții incluși în prezent în studii clinice cu Begedina.

Dacă participați la un studiu clinic și aveți nevoie de informații suplimentare despre tratamentul dumneavoastră, adresați-vă medicului care vă administrează acest medicament.