



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

22. julij 2016  
EMA/579462/2016  
EMA/H/C/004144

## Vprašanja in odgovori

---

# Umik vloge za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Begedina (begelomab)

Družba Adienne S.r.l. S.U. je dne 4. julija 2016 uradno obvestila Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP), da želi umakniti vlogo za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Begedina, namenjenim zdravljenju boleznih presadka proti gostitelju.

## Kaj je zdravilo Begedina?

Begedina je zdravilo, ki vsebuje zdravilno učinkovino begelomab. Na voljo naj bi bilo v obliki koncentrata za pripravo raztopine za infundiranje (kapalne infuzije) v veno.

## Za kaj naj bi se zdravilo Begedina uporabljalo?

Zdravilo Begedina naj bi se uporabljalo za zdravljenje akutne boleznih presadka proti gostitelju (stanja, pri katerem presajene celice napadejo bolnikovo telo) pri odraslih, ki so jim presadili darovalčeve krvotvorne matične celice (presajene celice, ki se lahko razvijejo v različne vrste krvnih celic). Zdravilo naj bi se uporabljalo pri bolnikih, pri katerih se bolezen ni odzvala na zdravljenje s steroidi.

Zdravilo Begedina je bilo dne 26. novembra 2010 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih boleznih) za zdravljenje boleznih presadka proti gostitelju. Več informacij o zdravilih sirotah je na voljo [tukaj](#).

## Kako naj bi zdravilo Begedina delovalo?

Zdravilna učinkovina v zdravilu Begedina, begelomab, je monoklonsko protitelo (vrsta beljakovine), ki je bilo zasnovano tako, da se pritrdi na receptor, imenovan CD26, ki je prisoten na površini celic T. Te so vrsta belih krvnih celic, ki so vključene v bolezen presadka proti gostitelju. S pritrditvijo na CD26 naj bi to zdravilo zmanjšalo hitrost razmnoževanje celic T. S tem naj bi se zmanjšalo število in



aktivnost celic T s presadka, ki napadajo bolnikove organe, in tako nadzorovalo bolezen presadka proti gostitelju.

## **Katero dokumentacijo je družba predložila v podporo svoji vlogi?**

Družba je predstavila rezultate dveh študij z zdravilom Begedina, ki sta skupaj vključevali 29 odraslih z akutno boleznijo presadka proti gostitelju, ki se ni odzvala na zdravljenje s steroidi. V teh študijah zdravila Begedina niso primerjali z nobenim drugim zdravilom.

## **Kako daleč je bil postopek ocenjevanja vloge ob njenem umiku?**

Vlogo so umaknili po tem, ko je CHMP ocenil začetno dokumentacijo, ki jo je predložila družba, in oblikoval seznam vprašanj. Družba v času umika še ni odgovorila na zastavljena vprašanja.

## **Kakšno je bilo takrat priporočilo CHMP?**

Na podlagi pregleda razpoložljivih podatkov je odbor CHMP v času umika izrazil določene zadržke in je začasno menil, da zdravila Begedina ni mogoče odobriti za zdravljenje bolnikov z akutno boleznijo presadka proti gostitelju, ki se ni odzvala na zdravljenje s steroidi.

CHMP je menil, da predloženi podatki ne zadoščajo za dokaz koristnega učinka zdravila Begedina. Poleg tega varnostni profil in pričakovani način delovanja zdravila v telesu nista bila zadovoljivo opredeljena. Pomanjkljivosti so bile ugotovljene tudi v postopku izdelave zdravila.

Zato je CHMP v času umika menil, da družba ni predložila zadostnih podatkov v podporo vlogi za zdravilo Begedina.

## **Kakšni so bili razlogi družbe za umik vloge?**

Družba je v dopisu, s katerim je Agencijo obvestila o umiku vloge, navedla, da se strinja, da je treba pridobiti dodatne podatke iz potrditvene študije.

Dopis o umiku je na voljo [tukaj](#).

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

Družba je obvestila CHMP, da zavrnitev nima nobenih posledic za bolnike, ki trenutno sodelujejo v kliničnih preskušanjih zdravila Begedina.

Če ste vključeni v klinično preskušanje in potrebujete več informacij o zdravljenju, se obrnite na zdravnika, ki vam je predpisal zdravljenje.