

22. heinäkuuta 2016
EMA/579471/2016
EMA/H/C/004144

Kysymyksiä ja vastauksia

Lääkevalmisteen Begedina (begelomabi) myyntilupahakemuksen peruuttaminen

Adienne S.r.l. S.U. ilmoitti 4. heinäkuuta 2016 virallisesti lääkevalmistekomitealle (CHMP) haluavansa peruuttaa käänteishyljintäsairauden hoitoon tarkoitettua Begedina-lääkevalmistettä koskevan myyntilupahakemuksensa.

Mitä Begedina on?

Begedina on lääkevalmiste, jonka vaikuttava aine on begelomabi. Sitä oli määrä olla saatavana konsentraattina, josta valmistetaan liuos infuusiota (laskimonsisäistä tiputusta) varten.

Mihin valmistetta Begedina oli tarkoitus käyttää?

Begedinaa oli tarkoitus käyttää akuutin käänteishyljintäsairauden (sairaus, jossa siirretyt solut hyökkäävät potilaan elimistöä vastaan) hoitoon aikuisilla, joille on siirretty lahjoitettuja hematopoeettisia kantasoluja (soluja, jotka pystyvät kehittymään erilaisiksi verisoluiksi). Lääkevalmistettä oli tarkoitus käyttää potilailla, joiden sairauteen steroidihoito ei ole tehonnut.

Begedina määriteltiin käänteishyljintäsairauden hoitoon tarkoitetuksi harvinaislääkkeeksi (harvinaisen sairauden hoitoon tarkoitettu lääke) 26. marraskuuta 2010. Lisätietoja harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on [tässä](#)

Miten valmisteen Begedina odotettiin vaikuttavan?

Begedinan vaikuttava aine begelomabi on monoklonaalinen vasta-aine (eräs proteiinityyppi), joka kiinnittyy T-solujen reseptoriin nimeltä CD26. T-solut ovat valkosoluja, jotka vaikuttavat käänteishyljintäsairauden kehittymiseen. Kiinnittymällä CD26-reseptoriin tämän lääkevalmisteen odotetaan hidastavan T-solujen lisääntymisnopeutta. Tämän odotetaan vähentävän potilaan elimistöä

vastaan hyökkäävien siirrettyjen T-solujen määrää ja toimintaa, mikä auttaa käänteishyljintäsairauden hallinnassa.

Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?

Yhtiö esitti tulokset kahdesta Begedinaa koskevasta tutkimuksesta, joihin osallistui yhteensä 29 aikuista, joilla oli akuutti käänteishyljintäsairaus, johon steroidihoito ei tehonnut. Näissä tutkimuksissa Begedinaa ei verrattu muihin hoitoihin.

Miten pitkällä hakemuksen arviointi oli sen peruuttamishetkellä?

Hakemus peruutettiin sen jälkeen, kun lääkevalmistekomitea oli arvioinut yhtiön alkuvaiheessa toimittamat asiakirjat ja laatinut luettelon kysymyksistä. Yhtiö ei ollut vielä vastannut näihin kysymyksiin hakemuksen peruuttamisen ajankohtana.

Mikä oli lääkevalmistekomitean suositus tuolloin?

Lääkevalmistekomitea suhtautui saamiensa tietojen tarkastelun perusteella varauksellisesti joihinkin seikkoihin hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, ja sen alustava kanta oli, että Begedinaa ei olisi voitu hyväksyä akuutin käänteishyljintäsairauden hoitoon, kun hoitovastetta ei ole saatu steroideilla.

Lääkevalmistekomitea katsoi, että toimitetut tiedot eivät riittäneet osoittamaan Begedinan myönteistä vaikutusta. Lisäksi turvallisuusprofiilia ja tapaa, jolla lääkkeen odotettiin toimivan elimistössä, ei ollut luonnehdittu riittävällä tavalla. Myös lääkkeen valmistusprosessissa tunnistettiin puutteita.

Siksi lääkevalmistekomitea katsoi hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, ettei yhtiö ollut toimittanut riittävästi tietoa Begedinaa koskevan myyntilupahakemuksen tueksi.

Mistä syistä yhtiö peruutti hakemuksen?

Virastolle lähettämässään hakemuksen peruuttamista koskevassa kirjeessä yhtiö myönsi, että lisätietoja tarvitaan vahvistavasta tutkimuksesta.

Yhtiön kirje, jossa se ilmoittaa lääkevirastolle hakemuksen peruuttamisesta, on luettavissa [tässä](#)

Mitä seurauksia tämän hakemuksen peruuttamisesta on kliinisiin tutkimuksiin osallistuvilla potilaille?

Yhtiö ilmoitti lääkevalmistekomitealle, että peruuttamisesta ei ole mitään seurauksia potilaille, jotka osallistuvat Begedinaa koskeviin kliinisiin tutkimuksiin.

Jos olet mukana kliinisessä tutkimuksessa ja tarvitset lisätietoa hoidostasi, ota yhteyttä hoitavaan lääkäriin.