

22 juillet 2016  
EMA/579450/2016  
EMA/H/C/004144

## Questions et réponses

---

# Retrait de la demande d'autorisation de mise sur le marché pour Begedina (bégéломab)

Le 4 juillet 2016, Adienne S.r.l. S.U. a officiellement notifié au comité des médicaments à usage humain (CHMP) son souhait de retirer sa demande d'autorisation de mise sur le marché pour Begedina, destiné au traitement de la maladie du greffon contre l'hôte.

## Qu'est-ce que Begedina?

Begedina est un médicament qui contient le principe actif bégéломab. Il devait se présenter sous la forme d'un concentré permettant de préparer une solution pour perfusion (goutte-à-goutte) dans une veine.

## Dans quel cas Begedina devait-il être utilisé?

Begedina devait être utilisé pour le traitement de la maladie aiguë du greffon contre l'hôte (une maladie dans laquelle les cellules greffées attaquent le corps du patient) chez les adultes ayant subi une greffe de cellules souches hématopoïétiques (greffe de cellules qui peuvent se différencier en différents types de cellules sanguines) provenant d'un donneur. Le médicament était destiné à être utilisé chez les patients dont la maladie ne répondait pas aux traitements par des stéroïdes.

Begedina a été désigné comme étant un «médicament orphelin» (médicament utilisé pour des maladies rares) le 26 novembre 2010 pour le traitement de la maladie du greffon contre l'hôte. Des informations complémentaires sur la désignation de médicament orphelin sont disponibles [ici](#).

## Comment Begedina devait-il agir?

Le bégéломab, le principe actif de Begedina, est un anticorps monoclonal (un type de protéine) qui a été conçu pour se fixer sur un récepteur appelé CD26, présent à la surface des lymphocytes T. Ces lymphocytes représentent un type de globules blancs qui jouent un rôle dans la maladie du greffon

contre l'hôte. En se fixant sur CD26, ce médicament devrait réduire la vitesse à laquelle les lymphocytes T se multiplient. Cela devrait réduire le nombre et l'activité des lymphocytes T provenant du greffon qui attaquent les organes du patient, contribuant à lutter contre la maladie du greffon contre l'hôte.

### **Quelle a été la documentation présentée par la société pour justifier sa demande?**

La société a présenté les résultats de deux études menées sur Begedina, incluant un total de 29 adultes atteints de la maladie aiguë du greffon contre l'hôte qui ne répondaient pas aux traitements par des stéroïdes. Dans ces études, Begedina n'a pas été comparé à d'autres traitements.

### **À quel stade en était l'évaluation lors du retrait de la demande?**

Lorsque la demande a été retirée, le CHMP avait évalué la documentation initiale présentée par la société et établi une liste de questions. Au moment du retrait, la société n'avait pas encore répondu aux questions.

### **Quelle était la recommandation du CHMP à ce stade?**

Sur la base de l'examen des données disponibles, au moment du retrait, le CHMP avait des réserves et estimait à ce stade que Begedina n'aurait pas pu être approuvé pour le traitement de la maladie aiguë du greffon contre l'hôte qui ne répondait pas aux traitements par des stéroïdes.

Le CHMP a estimé que les données fournies étaient insuffisantes pour démontrer un effet bénéfique de Begedina. De plus, le profil de sécurité et la manière dont le médicament devait agir dans l'organisme n'avaient pas été suffisamment caractérisés. Certaines lacunes ont également été identifiées dans le procédé de fabrication du médicament.

Par conséquent, au moment du retrait de la demande, l'avis du CHMP était que la société n'avait pas fourni suffisamment de données pour justifier la demande relative à Begedina.

### **Quels ont été les motifs invoqués par la société pour le retrait de la demande?**

Dans sa lettre notifiant à l'Agence le retrait de la demande, la société a déclaré qu'elle reconnaît la nécessité d'obtenir des données supplémentaires à partir d'une étude confirmative.

La lettre de retrait est disponible [ici](#).

### **Quelles sont les conséquences du retrait pour les patients participant aux essais cliniques?**

La société a informé le CHMP qu'il n'y a aucune conséquence pour les patients actuellement inclus dans des essais cliniques utilisant Begedina.

Si vous participez à un essai clinique et si vous souhaitez obtenir des informations complémentaires sur votre traitement, contactez le médecin qui vous a prescrit le traitement.