

2016. július 22.
EMA/579452/2016
EMA/H/C/004144

Kérdések és válaszok

A Begedina-ra (begelomab) vonatkozó forgalomba hozatali engedély iránti kérelem visszavonása

2016. július 4-én az Adienne S.r.l. S.U. hivatalosan értesítette az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottságát (CHMP), hogy vissza kívánja vonni a graft-versus-host betegség kezelésére szánt Begedina-ra vonatkozó forgalomba hozatali engedély iránti kérelmét.

Milyen típusú gyógyszer a Begedina?

A Begedina egy begelomab nevű hatóanyagot tartalmazó gyógyszer. Oldatos infúzió készítésére szolgáló koncentrátum formájában lett volna kapható.

Milyen alkalmazásra szánták a Begedina-t?

A Begedina-t donortól származó vérképző őssejtek transzplantációján (olyan sejtek átültetése, amelyek különböző vörsejteké tudnak fejlődni) átesett felnőttek akut graft-versus-host betegségének (ez egy olyan állapot, amelyben a transzplantált sejtek megtámadják a beteg szervezetét) kezelésére szánták. A gyógyszert olyan betegek kezelésére szánták, akiknek a betegsége szteroidokra nem reagált.

A Begedina-t 2010. november 26-án a graft-versus-host betegség kezelése tekintetében „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették. A ritka betegség elleni gyógyszerre minősítésről további információ [itt](#) található.

Milyen hatásmechanizmust vártak a Begedina-tól?

A Begedina hatóanyaga, a begelomab egy monoklonális antitest (egy fehérjetípus), amelyet úgy alkottak meg, hogy kötődjön a a T-sejteken található CD26 elnevezésű receptorhoz. Ezek olyan fehérvérsejt típusok, amelyek szerepet játszanak a graft-versus-host betegségben. A CD26-hoz való kötődéssel a gyógyszer várhatóan csökkenti a T-sejtek osztódásának ütemét. Ezzel várhatóan csökken

a beteg szerveit megtámadó, transzplantátumból származó T-sejtek száma és aktivitása, ez pedig hozzájárul a graft-versus-host betegség kontrollálásához.

Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a kérelem alátámasztására?

A vállalat két, összesen 29, szteroid kezelésre nem reagáló graft-versus-host betegségben szenvedő felnőttet érintő, Begedina-ra vonatkozó vizsgálat eredményeit nyújtotta be. Ezekben a vizsgálatokban a Begedina-t nem hasonlították össze más kezeléssel.

A visszavonás előtt meddig jutott el a kérelem az elbírálási folyamatban?

A kérelmet azután vonták vissza, miután a CHMP már értékelte a vállalat által eredetileg benyújtott dokumentációt, és kidolgozott egy kérdéslistát. A vállalat a visszavonás időpontjában még nem válaszolt a kérdésekre.

Mit tartalmazott a CHMP ajánlása az adott időpontban?

A visszavonás időpontjában az adatok áttekintése alapján a CHMP részéről néhány aggály merült fel, és az volt az ideiglenes véleménye, hogy a Begedina alkalmazása nem engedélyezhető a szteroid kezelésre nem reagáló, akut graft-versus-host betegség kezelésére.

A CHMP megállapította, hogy a benyújtott adatok nem elegendőek a Begedina hatásosságának alátámasztására. Továbbá nincs megfelelően részletezve a biztonságossági profil és az a mód, ahogy a gyógyszernek a szervezetben hatnia kellene. A gyógyszer gyártásával kapcsolatban is felmerültek hiányosságok.

Ezért a visszavonás időpontjában a CHMP véleménye az volt, hogy a vállalat nem közölt elegendő adatot a Begedina-ra vonatkozó kérelem alátámasztásához.

Mivel indokolta a vállalat a kérelem visszavonását?

Az Ügynökséget a kérelem visszavonásáról értesítő levelében a vállalat kijelentette, hogy tudomásul veszi egy megerősítő vizsgálatból származó további adatok szükségességét.

A visszavonásról szóló levél [itt](#) található.

Milyen következményekkel jár a visszavonás azokra a betegekre nézve, akik részt vettek a klinikai vizsgálatokban?

A vállalat arról tájékoztatta a CHMP-t, hogy a visszavonásnak a Begedina-val végzett klinikai vizsgálatokban jelenleg részt vevő betegekre nézve nincsenek következményei.

Ha Ön ilyen klinikai vizsgálatban vesz részt, és kezelését illetően további információra van szüksége, vegye fel a kapcsolatot kezelőorvosával!