



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

15 novembre 2019
EMA/603662/2019
EMA/H/C/002397

Ritiro della domanda di autorizzazione all'immissione in commercio per Luxceptar (cellule T vitali)

Kiadis Pharma Netherlands B.V. ha ritirato la domanda di autorizzazione all'immissione in commercio per Luxceptar per il trattamento di pazienti con cancro del sangue sottoposti a un tipo di trapianto di cellule staminali del sangue.

La ditta ha ritirato la domanda di autorizzazione in data 6 novembre 2019.

Che cos'è Luxceptar e per che cosa avrebbe dovuto essere usato?

Luxceptar è un medicinale sviluppato per migliorare la sopravvivenza dei pazienti affetti da cancro del sangue sottoposti a un tipo specifico di trapianto di cellule staminali del sangue (una procedura per sostituire le cellule emopoietiche malate del paziente con cellule sane di un donatore compatibile).

Luxceptar era destinato all'uso insieme al trapianto in pazienti con determinati tipi di cancro delle cellule del sangue che hanno risposto alla chemioterapia e alla radioterapia (remissione completa) ma ad alto rischio di ricaduta.

Avrebbe dovuto essere usato in pazienti sottoposti a trapianto con cellule provenienti da donatore imparentato ma non identico e dalle quali sono state rimosse le cellule T (un tipo di globuli bianchi). Le cellule T provenienti da un tale trapianto possono attaccare le cellule sane nel nuovo ospite e causare effetti indesiderati gravi denominati malattia del trapianto contro l'ospite (GVHD, *Graft versus-host-disease*); la loro rimozione riduce questo rischio ma anche la probabilità che il trapianto sarà efficace.

Luxceptar contiene cellule T del donatore per il trapianto trattate appositamente per ridurre il rischio di GVHD. Avrebbe dovuto essere disponibile come sospensione liquida per infusione (goccia a goccia) in vena.

Luxceptar è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) in diverse date. Ulteriori informazioni sulla designazione di medicinale orfano sono disponibili sul sito web dell'Agenzia: [prevenzione della GVHD](#), settembre 2008; [trattamento della leucemia mieloide acuta](#), novembre 2014; [trattamento per trapianto di cellule staminali ematopoietiche](#), giugno 2016.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Come agisce Luxceptar?

Sebbene la riduzione del numero di cellule T trapiantate riduca il rischio di GVHD, può anche rendere più difficile per il trapianto combattere le cellule tumorali e ricostruire il sistema immunitario del paziente. Luxceptar contiene le cellule T del donatore trattate selettivamente solo per rimuovere le cellule che potrebbero attaccare il tessuto del paziente e causare GVHD. La loro somministrazione poco dopo il trapianto consente di sostituire le cellule mancanti nel trapianto e aiuta a combattere infezioni e cellule tumorali.

Quale documentazione ha presentato la ditta a sostegno della domanda?

La ditta ha fornito i risultati di uno studio principale su 23 pazienti destinati a ricevere un trapianto di cellule staminali del sangue prive di cellule T da donatore imparentato ma non identico per il trattamento della leucemia mieloide o linfoblastica acuta o di sindromi mielodisplastiche. La principale misura dell'efficacia era il numero di decessi correlati alle complicazioni del trapianto dopo 6 mesi. La ditta ha inoltre fornito dati a sostegno relativi a qualità, sicurezza ed efficacia derivanti da altri studi.

A che punto della valutazione si trovava la domanda quando è stata ritirata?

La domanda è stata ritirata dopo che l'Agenzia europea per i medicinali aveva valutato le informazioni fornite dalla ditta e aveva formulato un elenco di domande. Dopo la valutazione da parte dell'Agenzia delle risposte della ditta all'ultima serie di domande e dopo una successiva consultazione con esperti esterni e la ditta, alcuni problemi erano rimasti irrisolti.

Poiché Luxceptar è un medicinale per terapia avanzata, è stato valutato per conto dell'Agenzia dal comitato per le terapie avanzate (CAT).

Qual era la raccomandazione dell'Agenzia a quel punto?

In base all'esame dei dati e delle risposte fornite dalla ditta alle domande poste dall'Agenzia, al momento del ritiro della domanda, l'Agenzia aveva alcuni dubbi ed era provvisoriamente del parere che Luxceptar non potesse essere autorizzato per il trattamento dei pazienti con cancro del sangue sottoposti a trapianti di cellule staminali del sangue prive di cellule T. Lo studio principale coinvolgeva un numero ridotto di pazienti e il suo disegno non ha consentito all'Agenzia di giungere a una conclusione sull'efficacia di Luxceptar. Pertanto, al momento del ritiro della domanda, l'Agenzia riteneva che, non essendo stata dimostrata l'efficacia, i benefici di Luxceptar non fossero superiori ai rischi identificati.

Quali sono i motivi invocati dalla ditta per il ritiro della domanda?

Nella [lettera](#) con cui notifica all'Agenzia il ritiro della domanda, la ditta ha dichiarato che tale ritiro era dovuto all'opinione dell'Agenzia che le attuali evidenze non fossero sufficienti per trarre conclusioni sull'efficacia del trattamento.

Il ritiro della domanda influisce sui pazienti inseriti in studi clinici?

La ditta ha informato l'Agenzia che non vi sono conseguenze per i pazienti inseriti in studi clinici con Luxceptar.

Le persone inserite in uno studio clinico che abbiano bisogno di maggiori informazioni sul proprio trattamento possono consultare il medico che le sta trattando.