



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2019 m. lapkričio 15 d.
EMA/603662/2019
EMA/H/C/002397

Paraiškos gauti Luxceptar (gyvybingų T ląstelių) registracijos pažymėjimą atsiėmimas

Bendrovė „Kiadis Pharma Netherlands B.V.“ atsiėmė savo paraišką gauti vaisto Luxceptar, skirto kraujo vėžiu sergančių pacientų, kuriems atliekama tam tikros rūšies kraujo kamieninių ląstelių transplantacija, gydymui, registracijos pažymėjimą.

Bendrovė paraišką atsiėmė 2019 m. lapkričio 6 d.

Kas yra Luxceptar ir kokiais atvejais jį buvo numatyta vartoti?

Luxceptar – tai vaistas, kuris buvo sukurtas siekiant pailginti kraujo vėžiu sergančių pacientų, kuriems atliekama tam tikros rūšies kraujo kamieninių ląstelių transplantacija (procedūra, kurios metu paciento nesveikos ląstelės, iš kurių formuojasi kraujo ląstelės, pakeičiamos sveikomis tinkamo donoro ląstelėmis), išgyvenimo trukmę.

Luxceptar buvo numatyta naudoti kartu su transplantatu gydant tam tikros rūšies kraujo ląstelių vėžiu sergančius pacientus, kuriems pasireiškė atsakas į chemoterapiją ir spindulinį gydymą (pasiekta visiška remisija), bet kyla didelis ligos atsinaujinimo pavojus.

Vaistą buvo numatyta lašinti į veną pacientams, kuriems persodinamas transplantatas iš susijusio, bet ne identiško donoro, iš kurio pašalintos T ląstelės (tam tikros rūšies baltosios kraujo ląstelės). Tokiame transplantate esančios T ląstelės gali „atakuoti“ sveikas ląsteles naujojo šeimininko organizme ir sukelti sunkų šalutinį poveikį, vadinamą transplantato prieš šeimininką liga (TPŠL); pašalinus šias ląsteles iš transplantato, šis pavojus sumažėja, bet taip pat sumažėja tikimybė, kad transplantacija bus sėkminga.

Luxceptar sudėtyje yra T ląstelių iš transplantato donoro kraujo, kurios specialiai apdorojamos siekiant sumažinti TPŠL pavojų. Šį vaistą buvo numatyta tiekti skystos suspensijos, skirtos vartoti infuzijos būdu (lašinti į veną), forma.

Skirtingomis datomis pagal kelias indikacijas Luxceptar buvo priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai. Daugiau informacijos apie vaistų priskyrimą retųjų vaistų kategorijai rasite agentūros tinklalapyje adresu: [TPŠL prevencija](#) – 2008 m. rugsėjo mėn.; [ūminės mieloidinės](#)

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



[leukemijos gydymas](#) – 2014 m. lapkričio mėn.; [gydymas atliekant hematopoetinių kamieninių ląstelių transplantaciją](#) – 2016 m. birželio mėn.

Kaip veikia Luxceptar?

Nors sumažinus persodinamų T ląstelių skaičių transplantate, sumažėja TPŠL pavojus, dėl to transplantatui taip pat gali būti sunkiau kovoti su vėžinėmis ląstelėmis ir atkurti paciento imuninę sistemą. Luxceptar sudėtyje yra donoro T ląstelių, kurios selektyviai apdorotos tik tiek, kad būtų pašalintos tos ląstelės, kurios gali atakuoti paciento audinį ir sukelti TPŠL. Tuoj po transplantacijos pacientui į veną sulašinus preparato su šiomis ląstelėmis, jomis pakeičiamos transplantate trūkstamos ląstelės, o tai padeda paciento organizmui kovoti su infekcijomis ir vėžinėmis ląstelėmis.

Kokius dokumentus bendrovė pateikė kartu su paraiška?

Bendrovė pateikė pagrindinio tyrimo, kuriame dalyvavo 23 pacientai, rezultatus; šiems pacientams buvo numatyta, gydant ūminę mieloidinę arba limfoblastinę leukemiją arba mielodisplazinius sindromus, persodinti susijusio, bet ne identiško donoro kraujo kamieninių ląstelių transplantatą, iš kurio pašalintos T ląstelės. Pagrindinis veiksmingumo rodiklis buvo su transplantato sukeltomis komplikacijomis susijusių mirties atvejų skaičius po 6 mėnesių. Bendrovė taip pat pateikė atliekant kitus tyrimus surinktus papildomus duomenis, susijusius su vaisto kokybe, saugumu ir veiksmingumu.

Kuriuo paraiškos nagrinėjimo etapu paraiška atsiimta?

Paraiška atsiimta, kai Europos vaistų agentūra jau buvo įvertinusi bendrovės pateiktą informaciją ir parengusi bendrovei skirtus klausimus. Agentūrai įvertinus bendrovės atsakymus į paskutinį kartą pateiktus klausimus ir vėliau pasikonsultavus su išorės ekspertais ir bendrove, vis dar buvo likę neišspręstų klausimų.

Kadangi Luxceptar yra pažangiosios terapijos vaistas, jį agentūros vardu įvertino Pažangiosios terapijos komitetas (CAT).

Kokia tuo metu buvo agentūros rekomendacija?

Remdamasi peržiūrėtais duomenimis ir bendrovės atsakymais į agentūros parengtus klausimus, paraiškos atsiėmimo metu agentūra dar turėjo abejonių ir buvo priėmusi negalutinę nuomonę, kad Luxceptar negali būti registruotas kraujo vėžiu sergančių pacientų, kuriems persodinamas kraujo kamieninių ląstelių transplantatas, iš kurio pašalintos T ląstelės, gydymui. Pagrindiniame tyrime dalyvavo mažai pacientų ir dėl taikyto tyrimo modelio agentūra negalėjo padaryti išvadų dėl Luxceptar veiksmingumo. Todėl paraiškos atsiėmimo metu agentūra laikėsi nuomonės, kad neįrodžius vaisto veiksmingumo Luxceptar teikiama nauda nėra didesnė už jo keliamą riziką.

Kokias paraiškos atsiėmimo priežastis nurodė bendrovė?

[Laiške](#), kuriuo agentūrai pranešta apie paraiškos atsiėmimą, bendrovė nurodė, savo paraišką atsiimanti dėl agentūros nuomonės, kad šiuo metu turimų duomenų nepakanka, kad būtų galima padaryti išvadą dėl gydymo šiuo vaistu veiksmingumo.

Ar šios paraiškos atsiėmimas turės įtakos pacientams, dalyvaujantiems klinikinuose tyrimuose?

Bendrovė pranešė agentūrai, kad šios paraiškos atsiėmimas neturės jokių pasekmių pacientams, dalyvaujantiems klinikinuose tyrimuose, kurių metu vartojamas Luxceptar.

Jei dalyvaujate klinikiname tyrime ir pageidaujate gauti daugiau informacijos apie Jums taikomą gydymą, pasikalbėkite su savo klinikinio tyrimo gydytoju.