

2016 m. liepos 22 d.
EMA/579454/2016
EMA/H/C/004144

Klausimai ir atsakymai

Paraiškos gauti Begedina (begelomabo) registracijos pažymėjimą atsiėmimas

2016 m. liepos 4 d. bendrovė „Adienne S.r.l. S.U.“ oficialiai pranešė Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komitetui (CHMP) apie savo pageidavimą atsiimti paraišką gauti vaisto Begedina, skirto transplantato prieš šeimininką ligos gydymui, registracijos pažymėjimą.

Kas yra Begedina?

Begedina – tai vaistas, kurio sudėtyje yra veikliosios medžiagos begelomabo. Jį buvo numatyta tiekti koncentrato, iš kurio ruošiamas infuzinis (į veną lašinamas) tirpalas, forma.

Kokiais atvejais buvo numatyta vartoti Begedina?

Begedina buvo numatyta skirti suaugusiems, kuriems iš donoro buvo persodintos hematopoetinės kamieninės ląstelės (ląstelės, kurios gali išsivystyti į įvairių rūšių kraujo ląsteles), ūmiai transplantato prieš šeimininką ligai (tai – būklė, kai persodintos ląstelės puola paciento organizmą) gydyti. Šį vaistą buvo numatyta skirti pacientams, kurių liga nereagavo į gydymą steroidais.

Pagal transplantato prieš šeimininką ligos gydymo indikaciją Begedina 2010 m. lapkričio 26 d. buvo priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai. Daugiau informacijos apie vaistų priskyrimą retųjų vaistų kategorijai rasite [čia](#).

Kokio tikėtasi Begedina veikimo?

Veiklioji Begedina medžiaga begelomabas yra monokloninis antikūnas (toks baltymas), kuris buvo sumodeliuotas taip, kad jungtųsi prie receptoriaus CD26, esančio T ląstelių paviršiuje. T ląstelės yra tie baltieji kraujo kūneliai, kurie dalyvauja vystantis transplantato prieš šeimininką ligai. Tikėtasi, kad jungdamasis prie CD26, šis vaistas sulėtins T ląstelių dauginimąsi. Dėl to turėtų sumažėti paciento

organus atakuojančių transplantato T ląstelių skaičius ir aktyvumas, o tai turėtų padėti kontroliuoti transplantato prieš šeimininką ligą.

Kokius dokumentus bendrovė pateikė kartu su paraiška?

Bendrovė pateikti dviejų tyrimų su Begedina rezultatus; juose dalyvavo 29 ūmia transplantato prieš šeimininką ligą sergantys suaugusieji, kurių liga nereagavo į gydymą steroidais. Šių tyrimų metu Begedina nebuvo lyginamas su kitais vaistais.

Kuriuo paraiškos nagrinėjimo etapu paraiška atsiimta?

Paraiška atsiimta, kai CHMP buvo įvertinęs bendrovės pateiktus pirminius dokumentus ir parengęs klausimų sąrašą. Paraiškos atsiėmimo metu bendrovė dar nebuvo atsakiusi į šiuos klausimus.

Kokia tuo metu buvo CHMP rekomendacija?

Remdamasis peržiūrėtais duomenimis, paraiškos atsiėmimo metu CHMP dar turėjo abejonių ir buvo priėmęs negalutinę nuomonę, kad Begedina negali būti registruotas ūmios transplantato prieš šeimininką ligos, kuri nereagavo į gydymą steroidais, gydymui.

CHMP laikėsi nuomonės, kad pateiktų duomenų nepakanka naudingam Begedina poveikiui įrodyti. Be to, nepakankamai išsamiai apibūdintos vaisto saugumo charakteristikos ir tai, kaip vaistas turėtų veikti patekęs į žmogaus organizmą. Taip pat nustatyta šio vaisto gamybos proceso trūkumų.

Todėl paraiškos atsiėmimo metu CHMP laikėsi nuomonės, kad kartu su paraiška gauti Begedina registracijos pažymėjimą bendrovė pateikė nepakankamai duomenų.

Kokias paraiškos atsiėmimo priežastis nurodė bendrovė?

Laiške, kuriuo agentūrai pranešta apie paraiškos atsiėmimą, bendrovė teigė pripažįstanti, jog reikia atlikti patvirtinamąjį tyrimą ir surinkti papildomų duomenų.

Laišką dėl paraiškos atsiėmimo galima rasti [čia](#).

Kokių pasekmių paraiškos atsiėmimas turės pacientams, dalyvaujantiems klinikiniuose tyrimuose?

Bendrovė informavo CHMP, kad paraiškos atsiėmimas neturės pasekmių šiuo metu klinikiniuose Begedina tyrimuose dalyvaujantiems pacientams.

Jei dalyvaujate klinikiniame tyrime ir pageidaujate gauti daugiau informacijos apie jums taikomą gydymą, kreipkitės į jus gydantį gydytoją.