

22 juli 2016
EMA/579457/2016
EMA/H/C/004144

Vragen en antwoorden

Intrekking van de aanvraag van een vergunning voor het in de handel brengen van Begedina (begelomab)

Op 4 juli 2016 heeft Adienne S.r.l. S.U. het Comité voor geneesmiddelen voor menselijk gebruik (CHMP) officieel op de hoogte gebracht van haar beslissing haar aanvraag van een vergunning voor het in de handel brengen van Begedina in te trekken. Begedina was bedoeld voor de behandeling van 'graft-versus-host'-ziekte (transplantaat-tegen-gastheer-reactie).

Wat is Begedina?

Begedina is een geneesmiddel dat de werkzame stof begelomab bevat. Het zou beschikbaar worden gesteld in de vorm van een concentraat voor oplossing voor infusie (indruppeling) in een ader.

Voor welke behandeling was Begedina bedoeld?

Begedina zou worden gebruikt voor de behandeling van acute 'graft-versus-host'-ziekte (een aandoening waarbij getransplanteerde cellen het lichaam van de patiënt aanvallen) bij volwassenen die een hematopoëtische transplantatie van progenitorcellen (cellen die zich kunnen ontwikkelen tot verschillende soorten bloedcellen) van een donor hebben gehad. Het geneesmiddel was bedoeld voor gebruik bij patiënten bij wie de ziekte niet reageert op een behandeling met steroïden.

Begedina werd op 26 november 2010 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame ziekten) voor de behandeling van 'graft-versus-host'-ziekte. Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel is [hier](#) te vinden.

Hoe werd verwacht dat Begedina zou werken?

De werkzame stof in Begedina, begelomab, is een monoklonaal antilichaam (een soort eiwit) dat zodanig is ontworpen dat het zich bindt aan een receptor met de naam CD26 en die voorkomt op T-cellen. Dit zijn een type witte bloedcellen die een rol spelen bij 'graft-versus-host'-ziekte. Door zich aan

CD26 te binden zal dit geneesmiddel naar verwachting de snelheid verlagen waarmee de T-cellen zich vermenigvuldigen. Verwacht wordt dat dit zal leiden tot een verlaging van het aantal en van de activiteit van T-cellen uit het transplantaat die organen van de patiënt aanvallen, en dat het daarmee zal bijdragen aan het bestrijden van 'graft-versus-host'-ziekte.

Welke documentatie heeft de firma ingediend als ondersteuning van de aanvraag?

De firma heeft de resultaten ingediend van twee onderzoeken met Begedina bij in totaal 29 volwassen deelnemers met acute 'graft-versus-host'-ziekte die niet reageerden op steroïdenbehandeling. In deze onderzoeken werd Begedina niet met enige andere behandeling vergeleken.

In welke beoordelingsfase werd de aanvraag ingetrokken?

De firma trok de aanvraag in nadat het CHMP de oorspronkelijke, door de firma verstrekte documentatie had beoordeeld en een lijst met vragen had opgesteld. Op het ogenblik van de intrekking had de firma de vragen nog niet beantwoord.

Wat was de aanbeveling van het CHMP op dat moment?

Op basis van de bestudering van de beschikbare informatie had het Comité op het ogenblik van de intrekking enkele bedenkingen en was het de voorlopige mening toegedaan dat Begedina niet kon worden goedgekeurd voor de behandeling van acute 'graft-versus-host'-ziekte die niet reageert op steroïdenbehandeling.

Het CHMP was van mening dat de gegevens onvoldoende waren om een gunstig effect van Begedina aan te tonen. Bovendien waren het veiligheidsprofiel en de manier waarop het geneesmiddel naar verwachting in het lichaam zal werken niet voldoende gekarakteriseerd. Er waren ook gebreken vastgesteld in het productieproces van het geneesmiddel.

Daarom was het CHMP op het moment van de intrekking van mening dat de firma onvoldoende informatie had verstrekt ter ondersteuning van de aanvraag voor Begedina.

Welke redenen gaf de firma voor het intrekken van de aanvraag?

In de brief waarin de firma het Geneesmiddelenbureau op de hoogte bracht van de intrekking van de aanvraag, erkent de firma dat er aanvullende gegevens uit een bevestigend onderzoek moeten worden verkregen.

De intrekkingsbrief is [hier](#) te vinden.

Welke gevolgen heeft de intrekking voor patiënten die deelnemen aan klinische proeven?

De firma heeft het CHMP laten weten dat er geen gevolgen zijn voor patiënten die momenteel deelnemen aan klinische proeven met Begedina.

Indien u deelneemt aan een klinische proef en meer informatie wenst over uw behandeling, neem dan contact op met uw behandelend arts.