



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

15 listopada 2019 r.
EMA/603662/2019
EMA/H/C/002397

Wycofanie wniosku o dopuszczenie do obrotu dotyczącego produktu Luxceptar (żywe limfocyty T)

Firma Pharma Netherlands B.V. wycofała wniosek o dopuszczenie do obrotu produktu Luxceptar, który miał być stosowany w leczeniu pacjentów z nowotworami krwi, otrzymujących pewien rodzaj przeszczepu krwiotwórczych komórek macierzystych.

Firma wycofała wniosek 6 listopada 2019 r.

Co to jest Luxceptar i w jakim celu miał być stosowany?

Lek Luxceptar opracowano w celu poprawy przeżycia u pacjentów z nowotworami krwi, leczonych za pomocą określonego rodzaju przeszczepu krwiotwórczych komórek macierzystych (procedura, w której chore komórki krwiotwórcze pacjenta zastępuje się komórkami zdrowymi, pochodzącymi od zgodnego dawcy).

Oczekiwano, że lek Luxceptar będzie stosowany wraz z przeszczepem u pacjentów z pewnego rodzaju nowotworami krwi, którzy odpowiadali na chemioterapię i radioterapię (remisja całkowita), ale u których występuje duże ryzyko wznowy choroby.

Miał być on stosowany u pacjentów otrzymujących przeszczep od dawcy spokrewnionego, ale nie identycznego genetycznie, po usunięciu z niego limfocytów T (rodzaju krwinek białych). Limfocyty T z takiego przeszczepu mogą atakować zdrowe komórki w swoim nowym gospodarzu i wywołać poważne działania niepożądane, tj. chorobę przeszczep przeciwko gospodarzowi (GVHD). Usunięcie tych komórek zmniejsza takie ryzyko, ale ogranicza też prawdopodobieństwo, że przeszczep zakończy się powodzeniem.

Lek Luxceptar zawiera limfocyty T od dawcy przeszczepu, które poddano specjalnej obróbce, pozwalającej zmniejszyć ryzyko wystąpienia GVHD. Miał on być dostępny w postaci ciekłej zawiesiny do podawania we wlewie dożylnym (jako kroplówka).

Lek Luxceptar w różnych terminach uznawano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach). Więcej informacji na temat oznaczenia leku jako sierocy można znaleźć na stronie internetowej Agencji pod adresem: [zapobieganie GVHD](#), wrzesień 2008 r.; [leczenie ostrej białaczki szpikowej](#), listopad 2014 r.; [terapia po przeszczepie krwiotwórczych komórek macierzystych](#), czerwiec 2016 r.

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



Jak działa produkt Luxceptar?

Choć zmniejszanie liczby przeszczepianych podczas transplantacji limfocytów T zmniejsza ryzyko wystąpienia GVHD, to także może utrudniać przeszczepowi zwalczanie komórek nowotworowych i odbudowę układu odpornościowego pacjenta. Luxceptar zawiera limfocyty T dawcy, które poddano selektywnej obróbce wyłącznie w celu usunięcia komórek, które mogą zaatakować tkanki pacjenta i wywołać GVHD. Podanie limfocytów T bezpośrednio po przeszczepie zastępuje nieobecne w nim komórki i pomaga zwalczać zakażenia oraz komórki nowotworowe.

Jaką dokumentację przedstawiła firma na poparcie wniosku?

Firma przedstawiła wyniki z badania głównego z udziałem 23 pacjentów, którzy mieli otrzymać przeszczep krwiotwórczych komórek macierzystych pozbawionych limfocytów T od spokrewnionego, ale nie identycznego genetycznie dawcy, w celu leczenia ostrej białaczki szpikowej, ostrej białaczki limfoblastycznej albo zespołów mielodysplastycznych. Głównym kryterium oceny skuteczności była liczba zgonów w związku z powikłaniami po przeszczepie po 6 miesiącach. Firma przedstawiła też uzupełniające dane z innych badań, dotyczące jakości, bezpieczeństwa stosowania i skuteczności.

Na jakim etapie znajdowała się ocena w momencie wycofania wniosku?

Wniosek wycofano po przeprowadzeniu przez Europejską Agencję Leków oceny informacji przedłożonych przez firmę i przygotowaniu listy pytań. Po tym, jak Agencja oceniła odpowiedzi firmy na ostatnią serię pytań i następnie skonsultowała się z niezależnymi ekspertami oraz firmą, kilka kwestii pozostało wciąż nierozwiązanych.

Ponieważ lek Luxceptar jest produktem terapii zaawansowanej, był on oceniany w imieniu Agencji przez Komitet ds. Terapii Zaawansowanych.

Jakie zalecenia wydała wówczas Agencja?

W momencie wycofania wniosku Agencja zgłosiła pewne zastrzeżenia na podstawie przeglądu danych i odpowiedzi firmy na listę pytań Agencji i wstępna opinia wskazywała, że produkt Luxceptar nie może być zatwierdzony w leczeniu pacjentów z nowotworami krwi otrzymujących przeszczepy krwiotwórczych komórek macierzystych z pozbawieniem limfocytów T. W badaniu głównym uczestniczyło niewielu pacjentów, a jego metodyka nie pozwoliła Agencji na ustalenie wniosków dotyczących skuteczności produktu Luxceptar. Dlatego też w momencie wycofania wniosku zdaniem Agencji, z uwagi na brak dowiedzionej skuteczności, korzyści ze stosowania produktu Luxceptar nie przewyższały ryzyka.

Jakie przyczyny wycofania wniosku podała firma?

W swoim [piśmie](#) powiadamiającym Agencję o wycofaniu wniosku firma oświadczyła, że wycofuje wniosek w związku z opinią Agencji, że istniejące dowody nie są wystarczające do potwierdzenia skuteczności leczenia.

Jakie są skutki wycofania dla pacjentów uczestniczących w badaniach klinicznych?

Firma powiadomiła Agencję, że nie ma żadnych skutków dla pacjentów obecnie biorących udział w badaniach klinicznych z użyciem produktu Luxceptar.

W przypadku uczestnictwa w badaniach klinicznych i potrzeby uzyskania dokładniejszych informacji o leczeniu, należy skontaktować się z lekarzem prowadzącym badanie.