



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

22 de julho de 2016
EMA/579459/2016
EMA/H/C/004144

Perguntas e respostas

Retirada do pedido de Autorização de Introdução no Mercado para Begedina (begelomab)

Em 4 de julho de 2016, a Adienne S.r.l. S.U. notificou oficialmente o Comité dos Medicamentos para Uso Humano (CHMP) da sua decisão de retirar o pedido de Autorização de Introdução no Mercado para o medicamento Begedina, para o tratamento da doença do enxerto *versus* hospedeiro.

O que é o Begedina?

O Begedina é um medicamento que contém a substância ativa begelomab. O medicamento iria ser disponibilizado na forma de concentrado para preparação de uma solução para perfusão (administração gota a gota) numa veia.

Qual a utilização prevista para o Begedina?

Previa-se que o Begedina fosse utilizado para o tratamento da doença aguda do enxerto *versus* hospedeiro (uma patologia em que as células transplantadas atacam o organismo do doente) em adultos que receberam um transplante de células progenitoras hematopoiéticas (transplante de células que se podem desenvolver em diferentes tipos de células sanguíneas) de um dador. Este medicamento destinava-se a ser utilizado em doentes cuja doença não respondia ao tratamento com esteroides.

O Begedina foi designado «medicamento órfão» (medicamento utilizado em doenças raras) em 26 de novembro de 2010 para o tratamento da doença do enxerto *versus* hospedeiro. Pode obter informações adicionais sobre a designação de medicamento órfão [aqui](#).

Como deveria funcionar o Begedina?

A substância ativa do Begedina, o begelomab, é um anticorpo monoclonal (um tipo de proteína) que foi concebido para se ligar a um recetor denominado CD26, que está presente nas células T. Estas são um tipo de glóbulos brancos que desempenha um papel na doença do enxerto *versus* hospedeiro. Ao ligar-



se ao CD26, espera-se que este medicamento reduza a taxa à qual as células T se multiplicam. Isto deverá reduzir o número e a atividade das células T do transplante que atacam os órgãos do doente, ajudando desse modo a controlar a doença do enxerto *versus* hospedeiro.

Que documentação foi apresentada pela empresa a acompanhar o pedido?

A empresa apresentou os resultados de dois estudos com Begedina que incluíram um total de 29 adultos com doença aguda do enxerto *versus* hospedeiro que não respondiam ao tratamento com esteroides. Nesses estudos, o Begedina não foi comparado com nenhum outro tratamento.

Qual o estado de adiantamento do processo de avaliação do pedido quando este foi retirado?

O pedido foi retirado depois de o CHMP ter avaliado a documentação inicial fornecida pela empresa e formulado uma lista de perguntas. A empresa não tinha ainda respondido às perguntas quando retirou o pedido.

Qual era a recomendação do CHMP no momento da retirada?

Com base na análise dos dados disponíveis, no momento da retirada, o CHMP tinha algumas questões, sendo de parecer que o Begedina para o tratamento da doença aguda do enxerto *versus* hospedeiro que não respondia ao tratamento com esteroides não podia ser aprovado.

O CHMP considerou que os dados fornecidos eram insuficientes para demonstrar o efeito benéfico do Begedina. Além disso, o perfil de segurança e o modo como se esperava que o medicamento atuasse no organismo não tinham sido suficientemente caracterizados. Também foram identificadas deficiências no processo de fabrico do medicamento.

Por conseguinte, no momento da retirada, o CHMP considerava que a empresa não tinha apresentado dados suficientes para apoiar o pedido relativo ao Begedina.

Quais as razões invocadas pela empresa para retirar o pedido?

Na sua carta a notificar a Agência da retirada do pedido, a empresa referiu que reconhece a necessidade de obter mais dados a partir de um estudo confirmatório.

A carta de retirada do pedido está disponível [aqui](#).

Quais as consequências da retirada do pedido para os doentes incluídos em ensaios clínicos?

A empresa informou o CHMP de que não existem consequências para os doentes atualmente incluídos em ensaios clínicos com o Begedina.

Se estiver incluído num ensaio clínico e necessitar de informação adicional sobre o tratamento, contacte o médico que lhe receitou o Begedina.