



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

15. november 2019
EMA/603662/2019
EMA/H/C/002397

Stiahnutie žiadosti o povolenie na uvedenie na trh pre liek Luxceptar (životaschopné T-bunky)

Spoločnosť Kiadis Pharma Netherlands B.V. stiahla svoju žiadosť o povolenie na uvedenie na trh pre liek Luxceptar na liečbu pacientov s rakovinou krvi, ktorí podstúpili druh transplantácie kmeňových krvotvorných buniek.

Spoločnosť stiahla svoju žiadosť 6. novembra 2019.

Čo je liek Luxceptar a na čo sa mal používať?

Liek Luxceptar je liek vyvinutý na zvýšenie šance prežitia u pacientov s rakovinou krvi, ktorí sú liečení osobitným druhom transplantácie kmeňových krvotvorných buniek (postup nahradenia nezdravých krvotvorných buniek pacienta zdravými bunkami od zhodného darcu).

Liek Luxceptar sa mal používať spolu s transplantáciou u pacientov s určitými typmi rakoviny krvných buniek, ktorí reagovali na chemoterapiu a ožarovanie (úplná remisia), ale u ktorých je vysoké riziko návratu.

Mal sa používať u pacientov, ktorí podstúpili transplantáciu od príbuzného, ale nie identického darcu, pričom boli z transplantátu odstránené T-bunky (druh bielych krviniek). T-bunky z takéhoto transplantátu môžu napádať zdravé bunky u nového hostiteľa a spôsobiť vážne vedľajšie účinky nazývané choroba z reakcie štepu proti hostiteľovi (GVHD); ich odstránením sa zníži toto riziko, ale zníži sa aj pravdepodobnosť, že transplantácia bude účinná.

Liek Luxceptar obsahuje T-bunky od darcu transplantátu, ktoré boli osobitne ošetrované s cieľom znížiť riziko GVHD. Liek mal byť dostupný vo forme kvapalnej suspenzie na podávanie prostredníctvom infúzneho roztoku (kvapkaním) do žily.

Liek Luxceptar bol k rôznym dátumom označený ako liek na ojedinelé ochorenia. Viac informácií o označovaní liekov ako lieky na ojedinelé ochorenia sa nachádza na webovom sídle agentúry: [prevencia GVHD](#), september 2008; [liečba akútnej myeloidnej leukémie](#), november 2014; [liečba transplantáciou hematopoietických kmeňových buniek](#), jún 2016.

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



Akým spôsobom liek Luxceptar účinkuje?

Hoci sa znížením množstva transplantovaných T-buniek v transplantáte zníži riziko GVHD, transplantát nemusí dostatočne zaúčinkovať proti rakovinovým bunkám a obnoviť imunitný systém pacienta. Liek Luxceptar obsahuje T-bunky darcu, ktoré boli selektívne ošetrované s cieľom odstrániť tie, ktoré by mohli napadnúť tkanivo pacienta a spôsobiť GVHD. Ich podaním krátko po transplantácii sa nahradia chýbajúce bunky v transplantáte a zvýši sa účinok proti infekciám a rakovinovým bunkám.

Akou dokumentáciou podložila spoločnosť svoju žiadosť?

Spoločnosť predložila výsledky hlavnej štúdie zahŕňajúcej 23 pacientov, ktorým mal byť podaný transplantát kmeňových krvotvorných buniek zbavený T-buniek od príbuzného, ale nie identického darcu na liečbu akútnej myeloidnej alebo lymfoblastickej leukémie alebo myelodysplastického syndrómu. Hlavným meradlom účinnosti bol počet úmrtí súvisiacich s komplikáciami po transplantácii po šiestich mesiacoch. Spoločnosť takisto predložila podporné údaje o kvalite, bezpečnosti a účinnosti z iných štúdií.

V akej fáze hodnotenia bola žiadosť v čase stiahnutia?

Žiadosť bola stiahnutá potom, ako Európska agentúra pre lieky vyhodnotila informácie predložené spoločnosťou a pripravila pre spoločnosť otázky. Po tom, ako agentúra posúdila odpovede spoločnosti na poslednú sériu otázok, a po následných konzultáciách s externými odborníkmi a spoločnosťou ešte stále zostali niektoré otázky nevyriešené.

Keďže liek Luxceptar je liek na inovatívnu liečbu, posudzoval ho Výbor pre inovatívnu liečbu (CAT) v mene agentúry.

Aké bolo v tom čase odporúčanie agentúry?

Na základe preskúmania údajov a odpovedí spoločnosti na otázky agentúry mala agentúra v čase stiahnutia žiadosti určité výhrady a dospela k predbežnému stanovisku, že liek Luxceptar nemôže byť povolený na liečbu pacientov s rakovinou krvi, ktorým sa podáva transplantát kmeňových krvotvorných buniek zbavený T-buniek. Hlavná štúdia zahŕňala malý počet pacientov a spôsob, akým bola navrhnutá, neumožnil agentúre dospieť k záveru o účinnosti lieku Luxceptar. Agentúra preto v čase stiahnutia žiadosti zastávala názor, že vzhľadom na nepreukázanú účinnosť prínosy lieku Luxceptar neprevyšujú jeho riziká.

Aké dôvody na stiahnutie žiadosti uviedla spoločnosť?

Vo svojom [liste](#) oznamujúcom agentúre stiahnutie žiadosti spoločnosť uviedla, že sťahuje žiadosť na základe názoru agentúry, že súčasné dôkazy nie sú dostatočné na vyvodenie záveru o účinnosti liečby.

Má stiahnutie žiadosti vplyv na pacientov, ktorí sa zúčastňujú na klinických skúškaniach?

Spoločnosť informovala agentúru, že pre pacientov používajúcich liek Luxceptar, ktorí sa v súčasnosti zúčastňujú na klinických skúškaniach, nevyplývajú žiadne dôsledky.

Ak sa zúčastňujete na klinickom skúšaní a potrebujete viac informácií o svojej liečbe, obráťte sa na svojho ošetrojúceho lekára.