

22. júla 2016
EMA/579461/2016
EMA/H/C/004144

Otázky a odpovede

Stiahnutie žiadosti o povolenie na uvedenie lieku Begedina (begelomab) na trh

Dňa 4. júla 2016 spoločnosť Adienne S.r.l. S.U. oficiálne oznámila Výboru pre lieky na humánne použitie (CHMP) rozhodnutie stiahnuť svoju žiadosť o povolenie na uvedenie lieku Begedina na trh, ktorý sa mal používať na liečbu choroby štep proti hostiteľovi.

Čo je liek Begedina?

Begedina je liek, ktorý obsahuje účinnú látku begelomab. Liek mal byť dostupný vo forme koncentráту, z ktorého sa pripravuje infúzny roztok (na kvapkanie do žily).

Aké bolo predpokladané použitie lieku Begedina?

Liek Begedina sa mal používať na liečbu akútnej choroby štep proti hostiteľovi (stav, pri ktorom transplantované bunky napádajú telo pacienta) u dospelých po transplantácii hematopoetických prekursorových buniek (transplantát buniek, z ktorých sa môžu vyvinúť rôzne druhy krvných buniek) od darcu. Liek sa mal používať u pacientov, ktorých ochorenie nereagovalo na liečbu steroidmi.

Liek Begedina bol 26. novembra 2010 označený ako liek na zriedkavé choroby (liek, ktorý sa používa pri zriedkavých chorobách) na liečbu choroby štep proti hostiteľovi. Viac informácií o označovaní liekov za lieky na zriedkavé choroby sa nachádza [tu](#).

Akým spôsobom mal liek Begedina účinkovať?

Begelomab, účinná látka lieku Begedina, je monoklonálna protilátka (druh proteínu), ktorá je vytvorená tak, že sa naviaže na receptor s názvom CD26, ktorý sa nachádza na T-bunkách. Je to druh bielych krviniek, ktoré zohrávajú úlohu pri chorobe štep proti hostiteľovi. Predpokladá sa, že naviazaním na receptor CD26 tento liek znižuje rýchlosť množenia T-buniek. Predpokladá sa, že sa tak

zníži počet a aktivita T-buniek z transplantátu, ktoré napádajú orgány pacienta, čo pomôže pri kontrole choroby štep proti hostiteľovi.

Akou dokumentáciou podložila spoločnosť svoju žiadosť?

Spoločnosť predložila výsledky dvoch štúdií s liekom Begedina, ktorých sa zúčastnilo celkovo 29 dospelých s akútnou chorobou štep proti hostiteľovi, ktorí neodpovedali na steroidnú liečbu. V týchto štúdiách sa liek Begedina neporovnával so žiadnou inou liečbou.

V akej fáze hodnotenia bola žiadosť v čase stiahnutia?

Žiadosť bola stiahnutá po tom, čo výbor CHMP vyhodnotil pôvodnú dokumentáciu, ktorú spoločnosť predložila, a vypracoval zoznam otázok. Spoločnosť v čase stiahnutia žiadosti ešte neodpovedala na otázky.

Aké bolo v tom čase odporúčanie výboru CHMP?

Na základe preskúmania dostupných údajov mal výbor CHMP v čase stiahnutia žiadosti určité výhrady a dospel k predbežnému stanovisku, že liek Begedina nemôže byť povolený na liečbu akútnej choroby štep proti hostiteľovi, ktorá neodpovedala na steroidnú liečbu.

Výbor CHMP usúdil, že predložené údaje nie sú dostatočné na preukázanie prínosu lieku Begedina. Okrem toho bezpečnostný profil a predpokladaný spôsob účinku lieku v tele neboli dostatočne charakterizované. Zistili sa tiež nedostatky vo výrobnom procese lieku.

Výbor CHMP preto v čase stiahnutia žiadosti zastával názor, že spoločnosť nepredložila dostatočné údaje na podporu žiadosti pre liek Begedina.

Aké dôvody na stiahnutie žiadosti uviedla spoločnosť?

V liste oznamujúcom agentúre stiahnutie žiadosti spoločnosť uviedla, že uznáva potrebu získať ďalšie údaje z potvrdzujúcej štúdie.

List spoločnosti oznamujúci agentúre stiahnutie žiadosti sa nachádza [tu](#).

Aké sú dôsledky stiahnutia žiadosti pre pacientov, ktorí sa zúčastňujú na klinických skúškach?

Spoločnosť informovala výbor CHMP, že pre pacientov, ktorí sa v súčasnosti zúčastňujú na klinických skúškach používajúcich liek Begedina nevyplývajú žiadne dôsledky.

Ak ste však účastníkom klinického skúšania a potrebujete viac informácií o svojej liečbe, obráťte sa na svojho ošetrojúceho lekára.