



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Återkallande av ansökan om godkännande för försäljning av Luxceptar (viabla T-celler)

Kiadis Pharma Netherlands B.V. återkallade sin ansökan om godkännande för försäljning för Luxceptar som var avsett för behandling av patienter med blodcancer som är mottagare av en typ av blodstamcellstransplantat.

Företaget återkallade ansökan den 6 november 2019.

Vad är Luxceptar och vad skulle det användas för?

Luxceptar är ett läkemedel som har tagits fram för att förbättra överlevnaden för patienter med blodcancer som behandlas med en specifik typ av blodstamcellstransplantat (ett förfarande där en patients hälsofarliga blodbildande celler ersätts med friska celler från en lämplig donator).

Luxceptar skulle ges tillsammans med transplantatet till patienter med vissa cancerformer i blodkropparna som har svarat på kemoterapi och strålbehandling (fullständig remission) men där det är hög risk att canceren kommer tillbaka.

Det skulle ges till patienter som är mottagare av ett transplantat från en närstående men inte identisk donator och från vilka T-celler (en typ av vita blodkroppar) har avlägsnats. T-celler från ett sådant transplantat kan angripa friska celler hos sin nya värd och orsaka allvarliga biverkningar som kallas transplantat-mot-värdsjukdom (GVHD, "graft-versus-host disease"). Att ta bort dem minskar denna risk men minskar också sannolikheten att transplantatet får effekt.

Luxceptar innehåller T-celler från transplantatdonatorn som särskilt behandlats för att minska risken för transplantat-mot-värdsjukdom. Det skulle finnas som en vätskesuspension för att ges genom infusion (dropp) i en ven.

Luxceptar klassificerades vid olika tillfällen som ett sär läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar). Mer information om klassificeringen som sär läkemedel finns på EMA:s webbplats: [förebyggande av transplantat-mot-värdsjukdom](#), september 2008; [behandling av akut myeloisk leukemi](#), november 2014; [behandling vid hematopoetisk stamcellstransplantation](#), juni 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



Hur verkar Luxceptar?

Även om ett minskat antal transplanterade T-celler i ett transplantat minskar risken för transplantat-mot-värdsjukdom, kan det också göra det svårare för transplantatet att bekämpa cancercellerna och återuppbygga patientens immunsystem. Luxceptar innehåller donatorns T-celler som har selektivt behandlats för att bara avlägsna de celler som skulle kunna angripa patientens vävnad och orsaka transplantat-mot-värdsjukdom. När de ges kort tid efter transplantatet, ersätts de saknade cellerna i transplantatet, vilket underlättar bekämpningen av infektioner och cancerceller.

Vad har företaget lämnat in som stöd för sin ansökan?

Företaget tillhandahöll resultat från en huvudstudie med 23 patienter som skulle motta ett blodstamcellstransplantat som genomgått T-cellsdepletion, från en närstående men inte identisk donator, för behandling av akuta myeloiska eller lymfatiska leukemier eller myelodysplastiska syndrom. Huvudmålet på effekt var antalet dödsfall på grund av komplikationer förknippade med transplantatet efter 6 månader. Företaget tillhandahöll även understödande data om kvalitet, säkerhet och effektivitet från andra studier.

Hur långt hade utvärderingen kommit när ansökan drogs tillbaka?

Ansökan drogs tillbaka efter att Europeiska läkemedelsmyndigheten hade utvärderat informationen från företaget och förberett frågor till företaget. Vissa frågetecken kvarstod när myndigheten hade utvärderat företagets svar på den sista omgången frågor, och därefter hade konsulterat externa experter och företaget.

Eftersom Luxceptar är ett läkemedel för avancerad terapi bedömdes det på myndighetens vägnar av kommittén för avancerade terapier.

Vad rekommenderade myndigheten vid den tidpunkten?

Efter genomgång av de inlämnade uppgifterna och företagets svar på myndighetens frågor hyste myndigheten vid tidpunkten för återkallandet vissa betänkligheter och ansåg preliminärt att Luxceptar inte skulle ha kunnat godkännas för behandling av patienter med blodcancer som är mottagare av blodstamcellstransplantat som genomgått T-cellsdepletion. I huvudstudien ingick ett litet antal patienter och studiens utformning gjorde att myndigheten inte kunde dra någon slutsats om effekten av Luxceptar. Vid tidpunkten för återkallandet ansåg därför myndigheten att nyttan med Luxceptar inte övervägde riskerna, eftersom effekten inte kunnat påvisas.

Vilka skäl angav företaget till att dra tillbaka sin ansökan?

I [skrivelsen](#) till myndigheten om att ansökan återkallas uppgav företaget att det återkallade ansökan på grund av myndighetens uppfattning att de aktuella beläggen inte var tillräckliga för att dra en slutsats om behandlingens effekt.

Påverkar detta återkallande patienter som deltar i kliniska prövningar?

Företaget informerade myndigheten om att återkallandet inte får några följder för patienter som deltar i kliniska prövningar med Luxceptar.

Om du deltar i en klinisk prövning och behöver mer information om din behandling kan du kontakta läkaren i den kliniska prövningen.