

22 juli 2016
EMA/579463/2016
EMA/H/C/004144

Frågor och svar

Återkallande av ansökan om godkännande för försäljning av Begedina (begelomab)

Den 4 juli 2016 underrättade Adienne S.r.l. S.U. officiellt kommittén för humanläkemedel (CHMP) om att de önskar återkalla sin ansökan om godkännande för försäljning för Begedina, som var avsett för behandling av graft-versus-host-sjukdom.

Vad är Begedina?

Begedina är ett läkemedel som innehåller den aktiva substansen begelomab. Det var avsett att finnas som ett koncentrat som skulle blandas till en infusionsvätska, lösning, för infusion (dropp) i en ven.

Vad skulle Begedina användas för?

Begedina var avsett att användas för behandling av akut graft-versus-host-sjukdom (ett tillstånd där transplanterade celler angriper patientens kropp) hos vuxna som har transplanterats med hematopoetiska progenitorceller (transplantation av celler som kan utvecklas till olika typer av blodceller) från en donator. Läkemedlet skulle användas till patienter vilkas sjukdom inte svarade på behandling med steroider.

Begedina klassificerades den 26 november 2010 som ett sär läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) avsett att användas vid graft-versus-host-sjukdom. Mer information om klassificeringen som sär läkemedel finns [här](#).

Hur var det tänkt att Begedina skulle verka?

Den aktiva substansen i Begedina, begelomab, är en monoklonal antikropp (en typ av protein) som har utformats för att fästa vid en receptor som kallas CD26 och finns på T-celler. Dessa är en typ av vita blodceller som spelar en roll vid graft-versus-host-sjukdom. Genom att fästas vid CD26, väntas detta läkemedel kunna minska hastigheten med vilken T-celler förökas. Detta väntas minska antalet och

aktiviteten hos T-celler från transplantatet som angriper patientens organ, och därigenom bidra till att kontrollera graft-versus-host-sjukdom.

Vad har företaget lämnat in som stöd för sin ansökan?

Företaget presenterade resultaten av två studier med Begedina på totalt 29 vuxna med akut graft-versus-host-sjukdom som inte svarade på behandling med steroider. I dessa studier jämfördes inte Begedina med någon annan behandling.

Hur långt hade utvärderingen kommit när ansökan drogs tillbaka?

Ansökan drogs tillbaka efter att CHMP hade utvärderat den ursprungliga dokumentation som företaget lämnat in och sammanställt en frågelista. Vid tidpunkten för återkallandet hade företaget ännu inte besvarat frågorna.

Vad rekommenderade CHMP vid den tidpunkten?

Efter genomgång av de inlämnade uppgifterna hyste CHMP vid tidpunkten för återkallandet vissa betänkligheter och ansåg preliminärt att Begedina inte skulle ha kunnat godkännas för behandling av graft-versus-host-sjukdom som inte har svarat på behandling med steroider.

CHMP ansåg att inlämnade data var otillräckliga för att påvisa en gynnsam effekt av Begedina. Dessutom hade säkerhetsprofilen och sättet på vilket läkemedlet förväntades verka i kroppen inte beskrivits tillräckligt utförligt. Det fanns även brister i tillverkningsprocessen för läkemedlet.

Vid tidpunkten för återkallandet ansåg CHMP därför att företaget inte hade lämnat in tillräckliga uppgifter som stöd för sin ansökan för Begedina.

Vilka skäl angav företaget till att dra tillbaka sin ansökan?

I sin skrivelse till myndigheten om återkallandet av ansökan angav företaget att de bekräftar behovet av att skaffa ytterligare data från en bekräftande studie.

Företagets skrivelse om återkallandet av ansökan finns [här](#).

Vilka följder får återkallandet för patienter som deltar i kliniska prövningar?

Företaget informerade CHMP om att återkallandet inte får några följder för patienter som för närvarande deltar i kliniska prövningar med Begedina.

Om du deltar i en klinisk prövning och vill få mer information om din behandling kan du kontakta den läkare som ger dig läkemedlet.