



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/577381/2023
EMA/H/C/005763

Casgevy (exagamglogene autotemcel)

Общ преглед на Casgevy и основания за разрешаване в ЕС

Какво представлява Casgevy и за какво се използва?

Casgevy е лекарство, което се използва за лечение на заболявания на кръвта, известни като бета-таласемия и сърповидно-клетъчна болест, при пациенти на възраст 12 и повече години.

При бета-таласемия Casgevy се прилага при пациенти, които се нуждаят от редовно кръвопреливане. Пациентите с това заболяване не произвеждат достатъчно хемоглобин (протеинът в червените кръвни клетки, който пренася кислорода в организма). В резултат на това пациентите имат ниски нива на червените кръвни клетки и се нуждаят от чести кръвопреливания.

При сърповидно-клетъчна анемия Casgevy се прилага при пациенти с тежка форма на заболяването и рецидивиращи болезнени кризи. При пациентите с това заболяване хемоглобинът е в необичайна форма, поради което червените кръвни клетки стават твърди и лепливи, като променят формата си и от дисковидни стават на полумесец (като сърп). Тези клетки могат да блокират кръвоносните съдове, като причиняват болезнени кризи, засягащи гърдите, корема и други части на тялото.

Бета-таласемията и сърповидно-клетъчната анемия се считат за редки и Casgevy е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки заболявания). Допълнителна информация за лекарствата сираци можете да намерите на уебсайта на Европейската агенция по лекарствата ([бета-таласемия](#): 17 октомври 2019 г.; [сърповидно-клетъчна болест](#): 9 януари 2020 г.)

Casgevy съдържа като активно вещество генетично модифицирани стволови клетки (клетки, които могат да се преобразуват в кръвни клетки), взети от собствената кръв на пациента. Casgevy се използва, когато лечението със стволови клетки е уместно и няма подходящи донори на стволови клетки.

Как се използва Casgevy?

Casgevy се отпуска по лекарско предписание и трябва да се прилага в лицензиран център от лекар, обучен за прилагане на това лекарство и който има опит в трансплантацията на стволови клетки и в лечението на заболявания на кръвта, засягащи хемоглобина.



Casgevy се приготвя индивидуално за всеки пациент от извлечени от собствената кръв стволови клетки и е предназначен само за пациента, за който е приготвен. Прилага се под формата на еднородна инфузия (вливане) във вена, а дозата зависи от телесното тегло на пациента.

Преди да се приложи Casgevy, пациентът се подлага на кондиционираща химиотерапия за изчистване на костния мозък от клетки.

За повече информация относно употребата на Casgevy вижте листовката или се свържете с вашия лекар или фармацевт.

Как действа Casgevy?

За да се приготви Casgevy, стволовите клетки се редактират (по технологията CRIPR/Cas9), така че да произвеждат повече фетален хемоглобин (вид хемоглобин, който се открива предимно при бебета в матката), но се среща и в малки количества при възрастните. Феталният хемоглобин може да компенсира липсата на хемоглобин при възрастни. Поради това, когато се инжектират на пациентите, модифицираните стволови клетки, могат да повишат нивата на червените кръвни клетки при пациентите с бета-таласемия и да предотвратят болезнени кризи при пациенти със сърповидно-клетъчна болест.

Какви ползи от Casgevy са установени в проучванията?

Ефектите на Casgevy се основават на междинни резултати от две проучвания, които все още не се приключили. В проучванията не се сравнява Casgevy с друго лекарство или плацебо.

В едно проучване при пациенти с таласемия на възраст между 12 и 35 години, в което лекарството е приложено след кондициониращо химиотерапевтично лечение, 39 пациенти от 42 поддържат нива на хемоглобин над 9 g/dl, без да е необходимо кръвопреливане в продължение на най-малко 12 последователни месеца.

Установено е също, че Casgevy е ефективен за предотвратяване на болезнени сърповидноклетъчни кризи. В проучване при пациенти с тежка форма на сърповидно-клетъчна болест на възраст между 12 и 35 години, 28 от 29 пациенти нямат никакви болезнени кризи в продължение на най-малко 12 последователни месеца, когато са лекувани с Casgevy след кондиционираща химиотерапия. В продължение на най-малко 12 последователни месеца нито един от пациентите (29 от 29) не се нуждае от хоспитализация поради болезнени кризи.

Какви са рисковете, свързани с Casgevy?

За пълния списък на нежеланите реакции и ограниченията при Casgevy вижте листовката.

Най-честите нежелани реакции при Casgevy (които може да засегнат повече от 1 на 10 души) включват главоболие, гадене (позиви за повръщане) и болки в мускулите и костите.

Лекарите трябва да преценят дали пациентите могат да бъдат подложени на необходимите предварителни лечения, преди да получат Casgevy.

Защо Casgevy е разрешен за употреба в ЕС?

Бета-таласемията, изискваща кръвопреливане, и сърповидно-клетъчната болест са сериозни заболявания, за които възможностите за лечение са ограничени. Въпреки че проучванията с Casgevy са ограничени и има неясноти, свързани с проектирането им, в тях е установено, че

еднократното лечение може да намали необходимостта от преливане на червени кръвни клетки при пациенти с бета-таласемия и да намали броя на болезнените кризи при пациенти със сърповидно-клетъчна болест.

По отношение на безопасността, лечението като цяло се понася добре, а нежеланите реакции се дължат главно на кондициониращата химиотерапия. Въпреки че такива случаи не са наблюдавани досега, би могъл да съществува теоретичен риск от рак, предизвикан от непредвидени промени в генетичния материал. Има също потенциален риск от кървене, тъй като лекарството може да причини спад в броя на тромбоцитите (кървни клетки, които помагат за съсирването на кръвта). Чрез 15-годишно проучване, базирано на регистър, са въведени мерки за наблюдение на такива събития.

Европейската агенция по лекарствата реши, че ползите от употребата на Casgevy са по-големи от рисковете и този продукт може да бъде разрешен за употреба в ЕС. Casgevy е разрешен за употреба по т.нар. схема „разрешаване под условие“. Това означава, че фирмата ще трябва да предостави допълнителни доказателства след получаване на разрешение.

Разрешението под условие се издава въз основа на по-малко изчерпателни данни от обичайно изискваните. Издава се за лекарства, които отговарят на неудовлетворена медицинска нужда от лечение на сериозни заболявания, и когато ползите от по-ранното им предлагане превишават рисковете, свързани с употребата на лекарствата, докато се очакват допълнителни данни. Всяка година Агенцията ще извършва преглед на новата информация, докато данните станат изчерпателни, и настоящото резюме съответно ще се актуализира.

Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Casgevy?

Фирмата, която предлага Casgevy, ще предостави резултати от текущи проучвания, за да се извърши допълнителна оценка на ефективността и безопасността на лекарството. Фирмата ще предостави и обучителни материали за медицинските специалисти, които се очаква да използват лекарството, с информация за безопасността, включително за потенциалния риск от рак и необходимостта от наблюдение на нивата на тромбоцитите на пациента, както и как трябва да се прилага лекарството. Пациентите ще получат също ръководство и карта, която трябва да носят със себе си.

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Casgevy, които следва да се спазват от медицинските специалисти и пациентите, са включени също в кратката характеристика на продукта и в листовката.

Както при всички лекарства, данните във връзка с употребата на Casgevy непрекъснато се проследяват. Съобщените нежелани реакции, свързани с употребата на Casgevy, внимателно се оценяват и се предприемат всички необходими мерки за защита на пациентите.

Допълнителна информация за Casgevy:

Допълнителна информация за Casgevy можете да намерите на уебсайта на Агенцията:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/casgevy