



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/227007/2025
EMA/H/C/005772

Zemcelpro (*dorocubicel* / неекспандирани CD34-клетки)

Общ преглед на Zemcelpro и основания за разрешаване в ЕС

Какво представлява Zemcelpro и за какво се използва?

Zemcelpro е лекарство със стволови клетки, което се използва за лечение на възрастни с хематологични злокачествени заболявания (рак на кръвните клетки), които се нуждаят от трансплантация на алогенни хемопоеетични стволови клетки (allo-HSCT) и за които не съществуват други видове подходящи донорни клетки.

Allo-HSCT е процедура, при която костният мозък на пациента (гъбеста тъкан в големите кости, където се произвеждат кръвни клетки) се изчиства от клетки, които след това се заменят с клетки от съвместим донор. Трансплантираните клетки се размножават и се развиват в здрави специализирани кръвни и имунни клетки. Zemcelpro се прилага, след като пациентите са подложени на кондициониращо (подготвително) лечение с противоракови лекарства за изчистване на клетките от костния мозък.

HSCT е рядка процедура и Zemcelpro е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки заболявания) за употреба при пациенти, нуждаещи се от HSCT на 22 април 2020 г. Допълнителна информация за лекарствата сираци можете да намерите на [уебсайта](#) на ЕМА.

Zemcelpro е предназначено специално за всеки конкретен пациент. Съдържа два вида стволови клетки от дарена кръв от пъпна връв: дорокубицел (*dorocubicel*) (експандирани CD34+ клетки; експандирани означава, че клетките са отгледани и експандирани в лаборатория) и неекспандирани CD34-клетки.

Как се използва Zemcelpro?

Zemcelpro се отпуска по лекарско предписание. Трябва да се прилага в акредитиран център за трансплантация с опит в трансплантацията на хемопоеетични стволови клетки от лекар с опит в лечението на ракови заболявания на кръвните клетки.

Zemcelpro се прилага еднократно като единична доза чрез инфузия (вливане) във вена. Единична доза Zemcelpro се състои от 1 до 4 инфузионни сакове, съдържащи дорокубицел, и 4 сака, съдържащи неекспандирани CD34-клетки.

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



Преди и след лечението със Zemcelpro на пациентите се прилагат други лекарства за намаляване на риска от реакции, свързани с инфузията, и за предотвратяване на усложнения при трансплантация.

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

Как действа Zemcelpro?

Zemcelpro се използва за лечение на пациенти с рак на кръвта, които се нуждаят от allo-HSCT и за които не съществуват други видове подходящи донорни клетки.

При тези пациенти могат да се използват кръвни клетки от пъпната връв; за някои пациенти обаче не е налична подходяща кръв от пъпната връв поради малкия брой стволови клетки в дарената кръв от пъпна връв. Наличието на малък брой стволови клетки в кръвта от пъпна връв може да забави присаждането (когато трансплантираните клетки започнат да растат и да произвеждат здрави кръвни клетки).

При Zemcelpro някои от стволовите клетки от пъпната връв се отглеждат и експандират в лабораторни условия, след което се прилагат заедно с неекспандирани клетки от същата кръв от пъпна връв. Експандираните CD34+ клетки стимулират главно растежа на здрави кръвни клетки, докато неекспандираните CD34- клетки подпомагат този процес и също така спомагат за отстраняването на всички останали ракови клетки. След инфузията стволовите клетки от Zemcelpro мигрират в костния мозък, където се размножават, зреят и се развиват в здрави специализирани кръвни и имунни клетки.

Какви ползи от Zemcelpro са установени в проучванията?

Ползите от Zemcelpro са показани в две основни проучвания, включващи 25 пациенти с високорискова левкемия или миелодисплазия (видове рак на кръвта), които се нуждаят от allo-HSCT и за които не са налични други видове подходящи донорни клетки. В текущите проучвания Zemcelpro не е сравнен с друго лечение.

Проучванията показват, че средното време, необходимо за да се постигне присаждане на неутрофили при пациентите (когато трансплантираните клетки започнат да нарастват и да произвеждат неутрофили, вид бели кръвни клетки) след приема на Zemcelpro, е 20 дни. До ден 42 при 21 от 25 пациенти (84%) се постига присаждане на неутрофили.

Освен това при пациентите се постига присаждане на тромбоцити (когато трансплантираните клетки започват да растат и да произвеждат тромбоцити — компоненти, които помагат за съсирването на кръвта) след средно 40 дни след приема на Zemcelpro; до ден 100 при 17 от 25 пациенти (68%) са постига присаждане на тромбоцити.

Горепосочените резултати показват, че трансплантацията е успешна и че в костния мозък започва да се произвеждат нови кръвни клетки.

Какви са рисковете, свързани със Zemcelpro?

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

Най-честите нежелани реакции при Zemcelpro (които може да засегнат повече от 1 на 10 души) включват лимфопения (ниски нива на лимфоцити, вид бели кръвни клетки), инфекции, анемия (ниски нива на червените кръвни клетки), неутропения (ниски нива на неутрофилите), тромбоцитопения (ниски нива на тромбоцитите в кръвта), левкопения (ниски нива на белите

кръвни клетки), хипогамаглобулинемия (намалени нива на антитела в кръвта), фебрилна неутропения (ниски нива на неутрофилите с повишена температура), хипертония (високо кръвно налягане), синдром на присаждане (усложнение на HSCT със симптоми като повишена температура, обрив и други възпалителни реакции) и пневмония (инфекция на белите дробове). При 60 % от пациентите се съобщава за остра болест на присадката срещу гостоприемника (GvHD, когато донорните клетки атакуват организма малко след трансплантация), а при 16 % от пациентите се съобщава за хронична GvHD (която обикновено се развива по-късно от остра GvHD в рамките на няколко седмици до месеци след трансплантация).

Нежелани реакции, водещи до смърт, настъпват при около 8 % от пациентите, лекувани със Zemcelpro, и включват инфекции, остра GvHD, белодробен алвеоларен кръвоизлив (заболяване, при което настъпва кървене в алвеоларните торбички на белите дробове), пневмонит (възпаление на белите дробове, например синдром на идиопатична пневмония и криптогенна организираща пневмония) и белодробна хипертония (високо кръвно налягане в кръвоносните съдове, които снабдяват белите дробове).

Защо Zemcelpro е разрешен за употреба в ЕС?

Към момента на издаване на разрешението лечението на пациенти с рак на кръвните клетки, които са се нуждаели от HSCT и за които не са налични други видове подходящи донорни клетки, представлява клинично предизвикателство. Тези пациенти нямат други налични възможности за лечение и шансът им за възстановяване е минимален.

Въз основа на резултатите от малък брой пациенти в текущите проучвания възстановяването на неутрофилите и тромбоцитите след лечение със Zemcelpro е бързо, стабилно и устойчиво, което показва, че Zemcelpro може да бъде от полза за тези пациенти. Безопасността на Zemcelpro се счита за приемлива при тези пациенти без други възможности за лечение към момента на разрешаването.

Zemcelpro е разрешен за употреба по т.нар. схема „разрешаване под условие“ в ЕС. Това означава, че е разрешен въз основа на по-малко изчерпателни данни от обичайно изискваните, тъй като отговаря на неудовлетворена медицинска потребност. Европейската агенция по лекарствата счита, че ползите от по-ранното предлагане на лекарството превишават рисковете, свързани с употребата му, докато се очакват допълнителни данни.

Фирмата трябва да предостави допълнителни данни за Zemcelpro. Фирмата трябва да представи окончателните резултати от двете текущи основни проучвания и от две допълнителни проучвания със Zemcelpro и да предостави данни от друго проучване въз основа на регистър на пациентите, лекувани със Zemcelpro. Всяка година Агенцията ще извършва преглед на новата информация.

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

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

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

Допълнителна информация за Zemcelpro:

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