



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

16 септември 2021 г.
EMA/546292/2021

CHMP подкрепя преразглеждането, като не открива връзка между вирусния вектор в Zynteglo и рака на кръвта

На 22 юли 2021 г. Комитетът по лекарствените продукти за хуманна употреба (CHMP) на ЕМА одобри констатациите от преразглеждане, в което се заключава, че няма доказателства, че Zynteglo причинява рак на кръвта, известен като остра миелоидна левкемия (AML).

Zynteglo, генна терапия за нарушението на кръвта бета-таласемия, използва вирусен вектор (или модифициран вирус), за да достави работещ ген в кръвните клетки на пациента.

При преразглеждането са разгледани два случая на AML при пациенти, лекувани с изпитвано лекарство, bb1111, в клинично изпитване за сърповидно-клетъчна болест. Въпреки че няма съобщения за AML при Zynteglo, двете лекарства използват един и същ вирусен вектор и съществуват опасения, че векторът може да участва в развитието на рака (инсерционна онкогенеза).

Прегледът на Комитета за безопасност (PRAC) на ЕМА, подкрепен от експерти от Комитета за модерни терапии (CAT), установи, че е малко вероятно вирусният вектор да е причина за това. При един от пациентите вирусният вектор не се среща в раковите клетки, а при другия пациент се среща на място (VAMP4), което изглежда не участва в развитието на рак.

След като са разгледани всички доказателства, става ясно, че по-правдоподобни обяснения за случаите на AML включват кондициониращото лечение, което пациентите получават за изчистване на костномозъчните клетки, и по-високия риск от рак на кръвта при хора със сърповидно-клетъчна болест.

Пациентите, лекувани със Zynteglo за бета-таласемия, се нуждаят и от кондициониращо лечение за изчистване на клетките на костния мозък, преди да получат Zynteglo. Поради това медицинските специалисти трябва изрично да информират пациентите, получаващи Zynteglo, за увеличения риск от рак на кръвта от лекарствата, използвани за кондициониращи лечения.

CHMP се съгласи да се актуализират препоръките за наблюдение на пациентите. Медицинските специалисти трябва да проверяват пациентите за признаци на рак на кръвта **най-малко** веднъж годишно в продължение на 15 години¹.

¹ Предишната препоръка беше медицинските специалисти да проверяват за признаци на рак веднъж годишно.



CHMP заключи, че ползите от Zynteglo продължават да превишават рисковете. Както при всички лекарства, ЕМА ще следи всички нови данни за безопасността им и при необходимост ще актуализира съветите за пациентите и медицинските специалисти.

Информация за пациентите

- Преразглеждането на ЕМА не откри доказателства, че вирусният вектор в Zynteglo причинява рак на кръвта, известен като остра миелоидна левкемия (ОМЛ).
- Zynteglo ще продължи да се използва както преди. Вашият медицински специалист може обаче да Ви покани за онкологичен скрининг по-често от веднъж годишно.
- Ако имате някакви въпроси относно Вашето лечение, разговаряйте с Вашия медицински специалист.

Информация за медицинските специалисти

- Прегледът на ЕМА заключи, че няма доказателства, че вирусният вектор в Zynteglo причинява AML.
- Въпреки че двама пациенти, които са получили един и същ вирусен вектор в друго лекарство, са имали AML, има по-правдоподобни обяснения за това, отколкото инсерционна онкогенеза, включително кондициониращото лечение, което получават пациентите, и по-високия риск от хематологичен рак при хората със сърповидно-клетъчна болест.
- Медицинските специалисти трябва изрично да информират пациентите, получаващи Zynteglo, за увеличения риск от рак на кръвта вследствие от лекарства, използвани за кондициониращи лечения.
- Медицинските специалисти трябва да продължат да наблюдават пациентите за рак. ЕМА актуализира своята препоръка за онкологичен скрининг, като променя изискването от веднъж годишно на **най-малко** веднъж годишно.

Повече за лекарството

Zynteglo е еднократно лечение за заболяване на кръвта, известно като бета-таласемия, при пациенти на 12 и повече години, които се нуждаят от редовни кръвопреливания.

За приготвянето на Zynteglo стволовите клетки, взети от кръвта на пациента, се модифицират чрез вирус, който съдържа работещи копия на гена на бета-глобин в клетките. Когато модифицираните клетки се върнат обратно, те се пренасят с кръвния поток в костния мозък, където започват да образуват здрави червени кръвни клетки, които произвеждат бета-глобин. Очаква се ефектите от Zynteglo да останат за целия живот на пациента.

Zynteglo е разрешен за употреба по т.нар. схема „разрешаване под условие“ през май 2019 г. Условното разрешение означава, че се очакват допълнителни данни за лекарството, които фирмата ще предостави. ЕМА редовно преглежда новата информация, която става налична.

Повече за процедурата

Преразглеждането на Zynteglo започва на 18 февруари 2021 г. по искане на Европейската комисия съгласно [член 20 от Регламент \(ЕО\) № 726/2004](#).

Първоначално преразглеждането е извършено от Комитета за оценка на риска при проследяване на лекарствената безопасност (PRAC) — комитетът, отговорен за оценката на въпросите, свързани с безопасността на лекарствата за хуманна употреба, който работи в тясно сътрудничество с експерти от [Комитета за модерни терапии \(CAT\)](#).

Препоръките на PRAC са изпратени до CAT, който на 16 юли 2021 г. прие проекто становище в съответствие с препоръките на PRAC, а впоследствие и до Комитета по лекарствените продукти за хуманна употреба (CHMP), отговарящ за въпроси, свързани с лекарствата за хуманна употреба. На 22 юли 2021 г. CHMP приема окончателното становище на Агенцията, като взема предвид проекто становището на CAT. Становището на CHMP е изпратено до Европейската комисия, която на 16 септември 2021 г. издаде окончателно правно обвързващо решение, приложимо във всички държави — членки на ЕС.