



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zemcelpro (*dorokubicel / neexpandované buňky CD34-*)

Přehled pro přípravek Zemcelpro a proč byl přípravek registrován v EU

Co je přípravek Zemcelpro a k čemu se používá?

Zemcelpro je léčivý přípravek z kmenových buněk používaný k léčbě dospělých pacientů s hematologickými malignitami (nádorovým onemocněním krevních buněk), u kterých je nutná alogenní transplantace hematopoetických kmenových buněk a pro které není k dispozici jiný typ vhodných dárcovských buněk.

Alogenní transplantace hematopoetických kmenových buněk je zákrok, při kterém se pacientova kostní dřeň (houbovitá tkáň uvnitř velkých kostí, v níž se tvoří krevní buňky) zbaví buněk, které se pak nahradí buňkami od odpovídajícího dárce, přičemž transplantované buňky se množí a vyvíjejí ve zdravé specializované krevní a imunitní buňky. Přípravek Zemcelpro se podává poté, co pacienti podstoupili přípravnou léčbu protinádorovými léky za účelem odstranění buněk z kostní dřeně.

Transplantace hematopoetických kmenových buněk je vzácný zákrok a přípravek Zemcelpro byl dne 22. dubna 2020 označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“ pro použití u pacientů, u kterých je nutná transplantace hematopoetických kmenových buněk. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete na [internetových stránkách](#) agentury EMA.

Přípravek Zemcelpro se vyrábí speciálně pro každého pacienta. Obsahuje dva typy kmenových buněk z darované pupečnickové krve: dorokubicel (expandované buňky CD34+; výraz expandované znamená, že buňky byly vypěstovány a namnoženy v laboratoři) a neexpandované buňky CD34-.

Jak se přípravek Zemcelpro používá?

Výdej přípravku Zemcelpro je vázán na lékařský předpis. Přípravek musí být podán ve kvalifikovaném transplantačním centru, které se specializuje na transplantaci hematopoetických kmenových buněk, a to lékařem, který má zkušenosti s léčbou nádorových onemocnění krevních buněk.

Přípravek Zemcelpro se podává jednorázově prostřednictvím infuze (kapačky) do žíly. Jednorázová dávka přípravku Zemcelpro se skládá z 1 až 4 infuzních vaků obsahujících dorokubicel a 4 vaků obsahujících neexpandované buňky CD34-.

Před léčbou přípravkem Zemcelpro a po ní jsou pacientům podávány další léčivé přípravky ke snížení rizika reakcí spojených s infuzí a k prevenci komplikací spojených s transplantací.

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



Více informací o používání přípravku Zemcelpro naleznete v příbalové informaci nebo se obraťte na svého lékaře.

Jak přípravek Zemcelpro působí?

Přípravek Zemcelpro se používá k léčbě pacientů s nádorovým onemocněním krve, u kterých je nutná alogenní transplantace hematopoetických kmenových buněk a pro které není k dispozici jiný typ vhodných dárcovských buněk.

U těchto pacientů lze použít krevní buňky z pupečnickové krve, u některých pacientů však není vhodná pupečnicková krev k dispozici z důvodu nízkého počtu kmenových buněk v darované pupečnickové krvi. Nízký počet kmenových buněk v pupečnickové krvi může zpozdit přijetí (jestliže transplantované buňky začnou růst a produkovat zdravé krevní buňky).

U přípravku Zemcelpro se část pupečnickových kmenových buněk pěstuje a množí v laboratoři a poté se podávají spolu s neexpandovanými buňkami z téže pupečnickové krve. Expandované buňky CD34+ napomáhají především růstu zdravých krevních buněk, zatímco neexpandované buňky CD34- tento proces podporují a také pomáhají odstraňovat zbývající nádorové buňky. Po infuzi se kmenové buňky z přípravku Zemcelpro přesouvají do kostní dřeně, kde se množí, dozrávají a vyvíjejí se ve zdravé specializované krevní a imunitní buňky.

Jaké přínosy přípravku Zemcelpro byly prokázány v průběhu studií?

Přínosy přípravku Zemcelpro byly prokázány ve dvou hlavních studiích, do kterých bylo zařazeno 25 pacientů s vysoce rizikovou leukémií nebo myelodysplazií (typy nádorového onemocnění krve), u kterých byla nutná alogenní transplantace hematopoetických kmenových buněk a pro které nebyl k dispozici žádný jiný typ vhodných dárcovských buněk. V těchto studiích, které stále probíhají, nebyl přípravek Zemcelpro porovnáván s žádnou jinou léčbou.

Ze studií vyplynulo, že průměrná doba, po které pacienti dosáhli přijetí štěpu neutrofilů (kdy transplantované buňky začnou růst a produkovat neutrofile, což je typ imunitních buněk) po podání přípravku Zemcelpro, činila 20 dnů. Do 42. dne bylo přijetí štěpu neutrofilů dosaženo u 21 z 25 (84 %) pacientů.

Kromě toho pacienti dosáhli přijetí štěpu krevních destiček (kdy transplantované buňky začnou růst a produkovat krevní destičky, složky krve, které napomáhají jejímu srážení) v průměru po 40 dnech po podání přípravku Zemcelpro, přičemž do 100. dne dosáhlo tohoto přijetí 17 z 25 (68 %) pacientů.

Výše uvedené výsledky naznačují, že transplantace byla úspěšná a že se v kostní dřeni začaly tvořit nové krevní buňky.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Zemcelpro?

Úplný seznam nežádoucích účinků a omezení přípravku Zemcelpro je uveden v příbalové informaci.

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Zemcelpro (které mohou postihnout více než 1 osobu z 10) jsou lymfopenie (nízká hladina lymfocytů, což je typ imunitních buněk), infekce, anémie (nízká hladina červených krvinek), neutropenie (nízká hladina neutrofilů), trombocytopenie (nízká hladina krevních destiček), leukopenie (nízká hladina bílých krvinek), hypogamaglobulinemie (snížená hladina proteinů v krvi), febrilní neutropenie (nízká hladina neutrofilů s horečkou), hypertenze (vysoký krevní tlak), syndrom z přijetí štěpu (komplikace transplantace hematopoetických kmenových buněk s příznaky, jako je horečka, vyrážka a další zánětlivé reakce) a pneumonie (zápal plic). Akutní reakce štěpu proti hostiteli (GvHD, kdy dárcovské buňky napadají tělo krátce po transplantaci) byla hlášena

u 60 % pacientů a chronická GvHD (která se obvykle vyvine později než akutní GvHD, během několika týdnů až měsíců po transplantaci) byla hlášena u 16 % pacientů.

Nežádoucí účinky, které vedly ke smrti, se vyskytly přibližně u 8 % pacientů léčených přípravkem Zemcelpro a zahrnovaly infekce, akutní GvHD, plicní alveolární krvácení (stav, kdy dochází ke krvácení do plicních sklípků), pneumonitidu (zánět v plicích, např. syndrom idiopatické pneumonie a kryptogenní organizující se pneumonie) a plicní hypertenzi (vysoký krevní tlak v cévách zásobujících plíce).

Na základě čeho byl přípravek Zemcelpro registrován v EU?

V době udělení rozhodnutí o registraci představovala léčba pacientů s nádorovým onemocněním krevních buněk, u kterých byla nutná transplantace hematopoetických kmenových buněk a pro které nebyl k dispozici žádný jiný typ vhodných dárcovských buněk, významný klinický problém. Tito pacienti neměli k dispozici žádné jiné možnosti léčby a jejich šance na uzdravení byla minimální.

Na základě výsledků malého počtu pacientů v probíhajících studiích byla obnova neutrofilů a krevních destiček po léčbě přípravkem Zemcelpro rychlá, silná a trvalá, což naznačuje, že přípravek Zemcelpro může být pro tyto pacienty přínosem. Bezpečnost přípravku Zemcelpro byla u těchto pacientů, kteří v době registrace neměli jinou možnost léčby, považována za přijatelnou.

Přípravku Zemcelpro byla udělena podmíněná registrace k použití v EU. Znamená to, že byl schválen na základě méně komplexních údajů, než je obvykle požadováno, protože splňuje nenaplněnou léčebnou potřebu. Evropská agentura pro léčivé přípravky se domnívá, že přínos toho, že je léčivý přípravek k dispozici dříve, převyšuje veškerá rizika spojená s jeho používáním, zatímco se očekávají další poznatky.

Společnost musí o přípravku Zemcelpro poskytnout další údaje. Musí předložit konečné výsledky dvou probíhajících hlavních studií a dvou dalších studií s přípravkem Zemcelpro a poskytnout údaje z další studie založené na registru pacientů léčených přípravkem Zemcelpro. Agentura každoročně vyhodnotí jakékoli nové informace.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Zemcelpro?

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Zemcelpro, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Jako u všech léčivých přípravků jsou údaje o používání přípravku Zemcelpro průběžně sledovány. Podezření na nežádoucí účinky nahlášená v souvislosti s přípravkem Zemcelpro jsou pečlivě hodnocena a jsou učiněna veškerá nezbytná opatření, aby bylo chráněno zdraví pacientů.

Další informace o přípravku Zemcelpro

Další informace o přípravku Zemcelpro jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zemcelpro