



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Casgevy (exagamglogenaucetate)

En oversigt over Casgevy, og hvorfor det er godkendt i EU

Hvad er Casgevy, og hvad anvendes det til?

Casgevy er et lægemiddel, der anvendes til behandling af blodsygdomme kaldet beta-talassæmi og seglcellesygdom hos patienter 12 år og ældre.

Ved beta-talassæmi anvendes Casgevy hos patienter, der skal have regelmæssige blodtransfusioner. Patienter med denne sygdom danner ikke tilstrækkeligt hæmoglobin, som er det protein i de røde blodlegemer, der transporterer ilt rundt i kroppen. Patienterne har derfor brug for røde blodlegemer og har brug for hyppige blodtransfusioner.

Ved seglcellesygdom anvendes Casgevy hos patienter med svær sygdom og tilbagevendende smertefulde episoder. Patienter med denne sygdom har en unormal form af hæmoglobin, der gør de røde blodlegemer stive og klæbrige, og som ændrer dem fra at være skiveformede til at være halvmåneformede (som et segl). Blodlegemerne kan blokere blodkarrene og forårsage smertefulde kriser, der påvirker brystet, maven og andre dele af kroppen.

Beta-talassæmi og seglcellesygdom er sjældne, og Casgevy blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme". Yderligere oplysninger om lægemidler til sjældne sygdomme findes på Det Europæiske Lægemiddelagenturs websted: ([beta-talassæmi](#): 17. oktober 2019, [seglcellesygdom](#): 9. januar 2020)

Det aktive stof i Casgevy er genetisk modificerede stamceller (celler, der kan udvikle sig til blodlegemer), som er taget fra patientens eget blod. Det anvendes, når stamcellebehandling er tilstrækkelig, og der ikke findes egnede stamcelledonorer.

Hvordan anvendes Casgevy?

Casgevy fås kun på recept og skal gives på en godkendt klinik af en læge med erfaring i at give dette lægemiddel, og som har erfaring inden for stamcelletransplantation og behandling af blodsygdomme, der påvirker hæmoglobinet.

Casgevy fremstilles individuelt til hver patient af stamceller fra deres blod, og må kun gives til den patient, som det er fremstillet til. Det gives som en enkelt dosisinfusion (drop) i en vene, og dosen afhænger af patientens kropsvægt.



Inden Casgevy gives, vil patienten få konditionerende kemoterapibehandling for at rense knoglemarven for celler.

Hvis du ønsker mere information om anvendelsen af Casgevy, kan du læse indlægssedlen eller kontakte lægen eller apotekspersonalet.

Hvordan virker Casgevy?

For at fremstille Casgevy redigeres stamceller (ved hjælp af CRISPR/Cas9-teknologi), så de producerer mere føtalt hæmoglobin, en form for hæmoglobin, der primært findes hos ufødte spædbørn, men som også forekommer i små mængder hos voksne. Da føtalt hæmoglobin kan kompensere for manglen på normalt hæmoglobin hos voksne, kan injektionen af modificerede stamceller øge antallet af røde blodlegemer hos patienter med beta-talassæmi og forebygge smertefulde episoder hos patienter med seglcellesygdom.

Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Casgevy?

Virkningerne af Casgevy er baseret på foreløbige resultater af to studier, som stadig er i gang. Studierne sammenlignede ikke Casgevy med et andet lægemiddel eller placebo.

I et studie hos patienter med talassæmi i alderen 12-35 år, hvor lægemidlet blev givet efter konditionerende kemoterapibehandling, forblev hæmoglobinniveauet på over 9 g/dl uden behov for blodtransfusioner i mindst 12 på hinanden følgende måneder hos 39 patienter ud af 42.

Casgevy viste sig også at være effektivt til at forebygge smertefulde seglcelleepisoder. I et studie hos patienter med svær seglcellesygdom i alderen 12-35 år oplevede 28 ud af 29 patienter ingen smertefulde episoder i mindst 12 på hinanden følgende måneder, når de blev behandlet med Casgevy efter konditionerende kemoterapi. Ingen af patienterne (29 ud af 29) havde behov for hospitalsindlæggelse på grund af smertefulde episoder i mindst 12 på hinanden følgende måneder.

Hvilke risici er der forbundet med Casgevy?

Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger ved Casgevy fremgår af indlægssedlen.

De mest almindelige bivirkninger ved Casgevy (som kan forekomme hos mere end 1 ud af 10 personer) er hovedpine, kvalme og muskel- og knoglesmerter.

Lægen bør tage stilling til, om patienten kan få de behandlinger, som er nødvendige inden Casgevy.

Hvorfor er Casgevy godkendt i EU?

Transfusionskrævende beta-talassæmi og seglcellesygdom er alvorlige sygdomme med begrænsede behandlingsmuligheder. Selv om studierne med Casgevy var små, og der var usikkerhed forbundet med deres udformning, viste de, at engangsbehandling kan reducere behovet for transfusion af røde blodlegemer hos patienter med beta-talassæmi og reducere antallet af smertefulde episoder hos patienter med seglcellesygdom.

Hvad sikkerheden angår, tålte behandlingen generelt godt, og bivirkningerne skyldtes primært den konditionerende kemoterapi. Der kan være en teoretisk risiko for kræft som følge af utilsigtede ændringer i det genetiske materiale, men der er endnu ikke konstateret sådanne tilfælde. Der er også en potentiel risiko for blødning, da lægemidlet kan mindske antallet af blodplader (bestanddele, der hjælper blodet med at størkne). Der er truffet foranstaltninger til at overvåge sådanne tilfælde gennem et 15-årigt registerbaseret studie.

Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede, at fordelene ved Casgevy opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU. Casgevy har fået en "betinget godkendelse". Det betyder, at virksomheden skal fremlægge yderligere dokumentation efter godkendelsen.

En betinget godkendelse gives på grundlag af mindre omfattende data, end der normalt kræves. Den gives til lægemidler, der opfylder et udækket medicinsk behov for at behandle alvorlige sygdomme, og hvor fordelene ved at gøre dem tilgængelige på et tidligere tidspunkt opvejer eventuelle risici, der er forbundet med at anvende lægemidlerne, mens der afventes yderligere dokumentation. Hvert år gennemgår agenturet alle nye oplysninger, der bliver tilgængelige, indtil dataene bliver mere omfattende, og ajourfører om nødvendigt denne oversigt.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre, at Casgevy anvendes sikkert og effektivt?

Den virksomhed, der markedsfører Casgevy, vil fremlægge resultater af igangværende studier for yderligere at vurdere lægemidlets virkning og sikkerhed. Virksomheden skal desuden udlevere oplysningsmateriale til sundhedspersoner, der forventes at anvende lægemidlet, med oplysninger om dets sikkerhed, herunder den potentielle risiko for kræft, behovet for at overvåge patientens blodpladetal, og hvordan lægemidlet skal gives. Patienterne vil også modtage en vejledning og et kort, som de bør bære på sig.

Der er desuden anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre, at Casgevy anvendes sikkert og effektivt.

Som for alle lægemidler bliver data vedrørende anvendelsen af Casgevy løbende overvåget. De formodede bivirkninger ved Casgevy vurderes omhyggeligt, og der træffes de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

Øvrig information om Casgevy

Yderligere information om Casgevy findes på agenturets websted:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/casgevy