



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

16. september 2021
EMA/546292/2021

CHMP godkender gennemgang, hvor der ikke blev påvist nogen forbindelse mellem en virusvektor i Zynteglo og blodkræft

Den 22. juli 2021 godkendte EMA's Udvalg for Lægemidler til Mennesker (CHMP) resultaterne af en gennemgang, hvori det blev konkluderet, at der ingen beviser er for, at Zynteglo forårsager en form for blodkræft kendt som akut myeloid leukæmi (AML).

Zynteglo, en genterapi for blodsygdommen beta-thalassæmi, bruger en virusvektor (eller et modificeret virus) til at indsætte et fungerende gen i patientens blodceller.

Gennemgangen omfattede to tilfælde af AML hos patienter, der var behandlet med et forsøgslægemiddel, bb1111, i et klinisk forsøg vedrørende seglcelleanæmi. Selvom der ikke har været indberetninger om AML i forbindelse med Zynteglo, bruger begge lægemidler den samme virusvektor, og der var bekymring for, at vektoren kunne være involveret i udviklingen af kræftformen (insertionel onkogenese).

Ved gennemgangen foretaget af EMA's sikkerhedsudvalg (PRAC) med støtte fra eksperter fra Udvalget for Avancerede Terapier (CAT) var konklusionen, at virusvektoren næppe var årsagen. Hos den ene af patienterne fandtes virusvektoren ikke i kræftcellerne, og hos den anden var den lokaliseret et sted (VAMP4), der ikke synes at være involveret i kræftudvikling.

Efter at have gennemgået al dokumentationen stod det klart, at en mere sandsynlig forklaring på AML-tilfældene var en konditionerende behandling, som patienterne fik for at fjerne knoglemarvsceller, og den højere risiko for blodkræft hos personer med seglcelleanæmi.

Patienter i behandling med Zynteglo for beta-thalassæmi har også behov for konditionerende behandling for at rense deres knoglemarvsceller, før de får Zynteglo. Sundhedspersoner bør derfor udtrykkeligt informere patienter, der får Zynteglo, om den øgede risiko for blodkræft fra lægemidler, der anvendes i konditionerende behandlinger.

CHMP vedtog en ajourføring af anbefalinger for overvågning af patienter. Sundhedspersoner bør nu kontrollere deres patienter for tegn på blodkræft **mindst** én gang årligt i 15 år.¹

CHMP konkluderede, at fordelene ved Zynteglo fortsat overstiger risiciene. EMA vil, som for alle lægemidler, overvåge eventuelle nye oplysninger om dets sikkerhed og ajourføre rådene til patienter og sundhedspersoner, når det er nødvendigt.

¹ Den foregående anbefaling var, at sundhedspersoner én gang årligt skulle kontrollere tegn på kræft.



Information til patienter

- Ved en gennemgang foretaget af EMA er der ikke fundet beviser for, at virusvektoren i Zynteglo forårsager en form for blodkræft kaldet akut myeloid leukæmi (AML).
- Zynteglo vil blive anvendt som hidtil. Din sundhedsperson kan dog indkalde dig til kræftscreening mere end én gang årligt.
- Spørg din sundhedsperson, hvis der er mere, du vil vide om behandlingen.

Information til sundhedspersoner

- Det er ved EMA's gennemgang konkluderet, at der ikke er dokumentation for, at virusvektoren i Zynteglo forårsager AML.
- To patienter, som fik samme virusvektor i et andet lægemiddel, havde AML, men der er mere plausible forklaringer på dette end insertionel onkogenese, herunder den konditionerende behandling, patienterne fik, og den højere risiko for hæmatologisk kræft hos personer med seglcelleanæmi.
- Sundhedspersoner bør udtrykkeligt informere patienter, der får Zynteglo, om den øgede risiko for blodkræft fra lægemidler, der anvendes i konditionerende behandlinger.
- Sundhedspersoner bør fortsat overvåge patienterne for kræft. EMA har opdateret sin anbefaling om kræftscreening og ændret kravet fra én gang årligt til **mindst** én gang årligt.

Yderligere oplysninger om lægemidlet

Zynteglo er en éngangsbehandling for blodsygdommen beta-thalassæmi hos patienter over 12 år, som kræver regelmæssige blodtransfusioner.

For at fremstille Zynteglo ændres stamceller, der tages fra patientens blod, ved hjælp af et virus, der overfører fungerende kopier af betaglobin-genet til cellerne. Når disse modificerede celler gives tilbage til patienten, transporteres de via blodbanen til knoglemarven, hvor de begynder at fremstille sunde, røde blodlegemer, der producerer betaglobin. Virkningen af Zynteglo forventes at vare resten af patientens liv.

Zynteglo fik en betinget markedsføringstilladelse i maj 2019. Den betingede godkendelse betyder, at der er flere beviser på vej om lægemidlet, som virksomheden vil fremlægge. EMA gennemgår regelmæssigt ny information, der bliver tilgængelig.

Yderligere oplysninger om proceduren

Gennemgangen af Zynteglo blev indledt den 18. februar 2021 på anmodning fra Europa-Kommissionen i medfør af [artikel 20 i forordning \(EF\) nr. 726/2004](#).

Gennemgangen blev først foretaget af Udvalget for Risikovurdering inden for Lægemiddelovervågning (PRAC), som har ansvar for vurdering af sikkerhedsspørgsmål vedrørende lægemidler til mennesker. PRAC arbejdede tæt sammen med eksperter fra [Udvalget for Avancerede Terapier \(CAT\)](#).

PRAC's anbefalinger blev overgivet til CAT, som vedtog et udkast til udtalelse den 16. juli 2021 i overensstemmelse med PRAC's anbefalinger, og efterfølgende til Udvalget for Lægemidler til Mennesker (CHMP), som er ansvarligt for spørgsmål vedrørende lægemidler til mennesker. Den 22. juli 2021 vedtog CHMP agenturets endelige udtalelse under hensyntagen til udkastet til udtalelse fra CAT. CHMP's udtalelse blev fremsendt til Europa-Kommissionen, som traf en endelig juridisk bindende afgørelse med gyldighed i alle EU's medlemsstater den 16. september 2021.

Lægemidlet er ikke længere autoriseret