



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zemcelpro (*Dorocubicel/nicht expandierte CD34-Zellen*)

Übersicht über Zemcelpro und warum es in der EU zugelassen ist

Was ist Zemcelpro und wofür wird es angewendet?

Zemcelpro ist ein Stammzellarzneimittel zur Behandlung von Erwachsenen mit hämatologischer maligner Erkrankung (Blutzellkrebs), die eine allogene hämatopoetische Stammzelltransplantation (Allo-HSCT) benötigen und für die keine andere Art geeigneter Spenderzellen verfügbar ist.

Allo-HSCT ist ein Verfahren, bei dem das Knochenmark des Patienten (Schwammgewebe innerhalb der großen Knochen, in denen Blutzellen erzeugt werden) von Zellen befreit wird, die dann durch Zellen eines passenden Spenders ersetzt werden; die transplantierten Zellen vermehren sich und entwickeln sich zu gesunden spezialisierten Blut- und Immunzellen. Zemcelpro wird angewendet, nachdem die Patienten eine konditionierende (vorbereitende) Behandlung mit Krebsarzneimitteln erhalten haben, um Zellen aus dem Knochenmark zu entfernen.

HSCT ist ein seltenes Verfahren, und Zemcelpro wurde am 22. April 2020 als Arzneimittel für seltene Leiden („Orphan-Arzneimittel“) zur Anwendung bei Patienten ausgewiesen, die eine HSCT benötigen. Weitere Informationen zur Ausweisung als Arzneimittel für seltene Leiden finden Sie auf den [Internetseiten](#) der EMA.

Zemcelpro wird für jeden Patienten speziell erstellt. Es enthält zwei Arten von Stammzellen aus gespendetem Nabelschnurblut: Dorocubicel (expandierte CD34+-Zellen; expandiert bedeutet, dass die Zellen im Labor gezüchtet und vermehrt wurden) und nicht expandierte CD34-Zellen.

Wie wird Zemcelpro angewendet?

Zemcelpro ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich. Es muss in einem qualifizierten Transplantationszentrum mit Erfahrung im Bereich HSCT von einem Arzt mit Erfahrung in der Behandlung von Blutzellkrebs gegeben werden.

Zemcelpro wird einmal als Einzeldosis durch Infusion (Tropfinfusion) in eine Vene verabreicht. Eine Einzeldosis Zemcelpro besteht aus 1 bis 4 Infusionsbeuteln, die Dorocubicel enthalten, und 4 Beuteln, die nicht expandierte CD34-Zellen enthalten.

Vor und nach der Behandlung mit Zemcelpro werden Patienten andere Arzneimittel gegeben, um das Risiko von Reaktionen im Zusammenhang mit der Infusion zu verringern und Transplantationskomplikationen zu verhindern.

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



Weitere Informationen zur Anwendung von Zemcelpro entnehmen Sie der Packungsbeilage, oder wenden Sie sich an Ihren Arzt.

Wie wirkt Zemcelpro?

Zemcelpro wird zur Behandlung von Patienten mit Blutkrebs angewendet, die eine Allo-HSCT benötigen und für die keine andere Art geeigneter Spenderzellen verfügbar ist.

Bei diesen Patienten können Nabelschnurblutzellen verwendet werden; bei einigen Patienten ist jedoch aufgrund einer geringen Anzahl von Stammzellen im gespendeten Nabelschnurblut kein geeignetes Nabelschnurblut verfügbar. Eine geringe Anzahl von Stammzellen im Nabelschnurblut kann das Engraftment verzögern (wenn die transplantierten Zellen beginnen, zu wachsen und gesunde Blutzellen zu bilden).

In Zemcelpro werden einige der Nabelschnurstammzellen im Labor gezüchtet und vermehrt und anschließend zusammen mit nicht expandierten Zellen aus demselben Nabelschnurblut verabreicht. Die expandierten CD34+-Zellen fördern hauptsächlich das Wachstum gesunder Blutzellen, während die nicht expandierten CD34-Zellen dies unterstützen und auch dazu beitragen, alle verbleibenden Krebszellen zu entfernen. Nach der Infusion migrieren die Stammzellen von Zemcelpro in das Knochenmark, wo sie sich vermehren, reifen und zu gesunden spezialisierten Blut- und Immunzellen entwickeln.

Welchen Nutzen hat Zemcelpro in den Studien gezeigt?

Der Nutzen von Zemcelpro wurde in zwei Hauptstudien gezeigt, an denen 25 Patienten mit hochriskanter Leukämie oder Myelodysplasie (Typen von Blutkrebs) teilnahmen, die eine Allo-HSCT benötigten und für die keine andere Art geeigneter Spenderzellen verfügbar war. In den laufenden Studien wurde Zemcelpro nicht mit einer anderen Behandlung verglichen.

Die Studien zeigten, dass die durchschnittliche Zeit, die die Patienten benötigten, um ein Engraftment der Neutrophilen (wenn die transplantierten Zellen beginnen, zu wachsen und Neutrophile, eine Art weißer Blutkörperchen, zu produzieren) nach der Verabreichung von Zemcelpro zu erreichen, 20 Tage betrug. Bis zum 42. Tag hatten 21 von 25 Patienten (84 %) ein Neutrophilen-Engraftment erreicht.

Darüber hinaus erreichten die Patienten nach durchschnittlich 40 Tagen nach der Behandlung mit Zemcelpro ein Thrombozyten-Engraftment (wenn die transplantierten Zellen beginnen zu wachsen und Thrombozyten, Bestandteile, die zur Blutgerinnung beitragen); bis Tag 100 hatten 17 von 25 Patienten (68 %) ein Thrombozyten-Engraftment erreicht.

Die oben genannten Ergebnisse deuten darauf hin, dass die Transplantation erfolgreich war und dass im Knochenmark mit der Bildung neuer Blutzellen begonnen wurde.

Welche Risiken sind mit Zemcelpro verbunden?

Die vollständige Auflistung der im Zusammenhang mit Zemcelpro berichteten Nebenwirkungen und Einschränkungen ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Sehr häufige Nebenwirkungen von Zemcelpro (die mehr als 1 von 10 Behandelten betreffen können) sind Lymphopenie (niedrige Anzahl von Lymphozyten, einer Art von weißen Blutkörperchen), Infektionen, Anämie (niedrige Anzahl roter Blutkörperchen), Neutropenie (niedrige Anzahl von Neutrophilen), Thrombozytopenie (niedrige Anzahl von Blutplättchen), Leukopenie (niedrige Anzahl weißer Blutkörperchen), Hypogammaglobulinämie (reduzierte Anzahl von Antikörpern im Blut), febrile Neutropenie (niedrige Anzahl von Neutrophilen mit Fieber), Hypertonie (Bluthochdruck), Engraftment-

Syndrom (eine Komplikation einer HSCT mit Symptomen wie Fieber, Hautausschlag und anderen entzündlichen Reaktionen) und Pneumonie (Lungeninfektion). Eine akute Transplantat-gegen-Wirt-Reaktion (GvHD, wenn Spenderzellen den Körper kurz nach einer Transplantation angreifen) wurde bei 60 % der Patienten berichtet, und chronische GvHD (die sich in der Regel später als eine akute GvHD entwickelt, innerhalb von mehreren Wochen bis Monaten nach einer Transplantation) wurde bei 16 % der Patienten berichtet.

Nebenwirkungen mit Todesfolge traten bei etwa 8 % der mit Zemcelpro behandelten Patienten auf und umfassten Infektionen, akute GvHD, pulmonale alveoläre Hämorrhagie (eine Erkrankung, bei der Blutungen in die Lungenbläschen auftreten), Pneumonitis (Entzündung in der Lunge, wie idiopathisches Pneumoniesyndrom und kryptogen organisierende Pneumonie) und pulmonale Hypertonie (Bluthochdruck in den Blutgefäßen, die die Lunge versorgen).

Warum wurde Zemcelpro in der EU zugelassen?

Zum Zeitpunkt der Zulassung stellte die Behandlung von Patienten mit Blutzellkrebs, die eine HSCT benötigten und für die keine andere Art geeigneter Spenderzellen verfügbar war, eine klinische Herausforderung dar. Für diese Patienten waren keine anderen Behandlungsoptionen verfügbar und die Wahrscheinlichkeit einer Erholung war minimal.

Auf der Grundlage der Ergebnisse einer kleinen Anzahl von Patienten in den laufenden Studien zeigte sich nach der Behandlung mit Zemcelpro eine schnelle, robuste und anhaltende Erholung von Neutrophilen und Blutplättchen, was darauf hindeutet, dass Zemcelpro für diese Patienten von Nutzen sein kann. Die Sicherheit von Zemcelpro wurde bei diesen Patienten, die zum Zeitpunkt der Zulassung keine anderen Behandlungsoptionen hatten, als akzeptabel erachtet.

Zemcelpro wurde unter „besonderen Bedingungen“ zur Anwendung in der EU zugelassen. Dies bedeutet, dass die Zulassung auf der Grundlage weniger umfassender Daten erteilt wurde, als normalerweise erforderlich sind, weil es eine Behandlungslücke schließt. Die Europäische Arzneimittel-Agentur ist der Auffassung, dass der Nutzen einer früheren Verfügbarkeit des Arzneimittels gegenüber den Risiken seiner Anwendung überwiegt, während auf weitere Nachweise gewartet wird.

Das Unternehmen muss weitere Daten zu Zemcelpro vorlegen. Sie muss die endgültigen Ergebnisse der beiden laufenden Hauptstudien und zweier zusätzlicher Studien mit Zemcelpro vorlegen und Daten aus einer anderen Studie vorlegen, die auf einem Register der mit Zemcelpro behandelten Patienten beruht. Die Agentur wird jedes Jahr sämtliche neuen Informationen prüfen, die verfügbar werden.

Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Zemcelpro ergriffen?

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Zemcelpro, die von Angehörigen der Heilberufe und Patienten befolgt werden müssen, wurden in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage aufgenommen.

Wie bei allen Arzneimitteln werden Daten zur Anwendung von Zemcelpro kontinuierlich überwacht. Gemeldete Verdachtsfälle von Nebenwirkungen von Zemcelpro werden sorgfältig ausgewertet und alle notwendigen Maßnahmen zum Schutz der Patienten ergriffen.

Weitere Informationen über Zemcelpro

Weitere Informationen zu Zemcelpro finden Sie auf den Internetseiten der Agentur:

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