



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zemcelpro (*dorocubicel*/μη πολλαπλασιασμένα CD34- κύτταρα)

Ανασκόπηση του Zemcelpro και αιτιολογικό έγκρισης στην ΕΕ

Τι είναι το Zemcelpro και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Zemcelpro είναι φάρμακο με αρχέγονα αιμοποιητικά κύτταρα και χρησιμοποιείται για τη θεραπεία ενηλίκων με αιματολογικές κακοήθειες (καρκίνοι των αιμοσφαιρίων), οι οποίοι χρειάζονται αλλογενή μεταμόσχευση αρχέγονων αιμοποιητικών κυττάρων (allo-HSCT) και για τους οποίους δεν υπάρχει άλλος τύπος κατάλληλων κυττάρων δότη.

Η allo-HSCT είναι μια διαδικασία κατά την οποία αφαιρούνται τα κύτταρα του μυελού των οστών του ασθενούς (σπογγώδης ιστός εντός των μεγάλων οστών όπου παράγονται τα αιμοσφαίρια) και, στη συνέχεια, αντικαθίστανται με κύτταρα συμβατού δότη. Τα μεταμοσχευμένα κύτταρα πολλαπλασιάζονται και αναπτύσσονται σε υγιή εξειδικευμένα αιμοσφαίρια και ανοσοκύτταρα. Το Zemcelpro χορηγείται αφού οι ασθενείς έχουν λάβει προηγουμένως θεραπεία με αντικαρκινικά φάρμακα για την αφαίρεση των κυττάρων από τον μυελό των οστών.

Η μεταμόσχευση αρχέγονων αιμοποιητικών κυττάρων είναι μια σπάνια διαδικασία και το Zemcelpro χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χρησιμοποιείται σε σπάνιες ασθένειες) για χρήση σε ασθενείς που χρειάζονται μεταμόσχευση αρχέγονων αιμοποιητικών κυττάρων στις 22 Απριλίου 2020. Περισσότερες πληροφορίες για τον χαρακτηρισμό ενός φαρμάκου ως ορφανού μπορείτε να βρείτε [στον δικτυακό τόπο](#) του EMA.

Το Zemcelpro παρασκευάζεται ειδικά για κάθε ασθενή. Περιέχει δύο τύπους αρχέγονων αιμοποιητικών κυττάρων από δωρηθέν ομφαλοπλακουντιακό αίμα: *dorocubicel* (πολλαπλασιασμένα CD34+ κύτταρα · ο όρος πολλαπλασιασμένα σημαίνει ότι τα κύτταρα έχουν καλλιεργηθεί και πολλαπλασιαστεί στο εργαστήριο) και μη πολλαπλασιασμένα CD34- κύτταρα.

Πώς χρησιμοποιείται το Zemcelpro;

Το Zemcelpro χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή. Πρέπει να χορηγείται σε εξειδικευμένο κέντρο μεταμόσχευσης με εμπειρογνωμοσύνη στη μεταμόσχευση αρχέγονων αιμοποιητικών κυττάρων, από γιατρό με πείρα στη θεραπεία καρκίνους του αίματος.

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



Το Zemcelpro χορηγείται ως εφάπαξ δόση, με ενδοφλέβια έγχυση (στάγδην χορήγηση). Μία δόση Zemcelpro αποτελείται από 1 έως 4 σάκους έγχυσης που περιέχουν dorocubicel και 4 σάκους που περιέχουν μη πολλαπλασιασμένα CD34- κύτταρα.

Πριν και μετά τη θεραπεία με το Zemcelpro, στους ασθενείς πρέπει να χορηγούνται άλλα φάρμακα για τη μείωση του κινδύνου αντιδράσεων που συνδέονται με την έγχυση και για την πρόληψη επιπλοκών από τη μεταμόσχευση.

Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη χρήση του Zemcelpro, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης ή επικοινωνήστε με τον γιατρό σας.

Πώς δρα το Zemcelpro;

Το Zemcelpro χρησιμοποιείται για τη θεραπεία ασθενών με καρκίνους του αίματος που χρειάζονται αλλογενή μεταμόσχευση αρχέγονων αιμοποιητικών κυττάρων και για τους οποίους δεν υπάρχει άλλος τύπος κατάλληλων κυττάρων δοτών.

Σε αυτούς τους ασθενείς μπορούν να χρησιμοποιηθούν αιμοσφαίρια ομφαλοπλακουντιακού αίματος. Ωστόσο, για ορισμένους ασθενείς δεν διατίθεται κατάλληλο ομφαλοπλακουντιακό αίμα λόγω του μικρού αριθμού αρχέγονων αιμοποιητικών κυττάρων στο δωρηθέν ομφαλοπλακουντιακό αίμα. Ο χαμηλός αριθμός αρχέγονων αιμοποιητικών κυττάρων στο ομφαλοπλακουντιακό αίμα μπορεί να καθυστερήσει την εμφύτευση (όταν τα μεταμοσχευμένα κύτταρα αρχίζουν να αναπτύσσονται και να παράγουν υγιή αιμοσφαίρια).

Στο Zemcelpro, ορισμένα από τα ομφαλοπλακουντιακά αρχέγονα αιμοποιητικά κύτταρα αναπτύσσονται και πολλαπλασιάζονται στο εργαστήριο και στη συνέχεια χορηγούνται μαζί με μη πολλαπλασιασμένα κύτταρα από το ίδιο ομφαλοπλακουντιακό αίμα. Τα πολλαπλασιασμένα CD34+ κύτταρα προάγουν κυρίως την ανάπτυξη υγιών αιμοσφαιρίων, ενώ τα μη πολλαπλασιασμένα CD34- κύτταρα υποστηρίζουν την ανάπτυξή τους και συμβάλλουν επίσης στην απομάκρυνση τυχόν εναπομεινάντων καρκινικών κυττάρων. Μετά την έγχυση, τα αρχέγονα αιμοποιητικά κύτταρα του Zemcelpro μεταναστεύουν στον μυελό των οστών όπου πολλαπλασιάζονται, ωριμάζουν και αναπτύσσονται σε υγιή εξειδικευμένα αιμοσφαίρια και ανοσοκύτταρα.

Ποια είναι τα οφέλη του Zemcelpro σύμφωνα με τις μελέτες;

Τα οφέλη του Zemcelpro καταδείχθηκαν σε δύο κύριες μελέτες, στις οποίες μετείχαν 25 ασθενείς με υψηλού κινδύνου λευχαιμία ή μυελοδυσπλασία (τύποι καρκίνου του αίματος), οι οποίοι έπρεπε να υποβληθούν σε αλλογενή μεταμόσχευση αρχέγονων αιμοποιητικών κυττάρων και για τους οποίους δεν υπήρχε διαθέσιμος άλλος τύπος κατάλληλων κυττάρων δοτών. Στις μελέτες, οι οποίες βρίσκονται σε εξέλιξη, το Zemcelpro δεν συγκρίθηκε με καμία άλλη θεραπεία.

Οι μελέτες κατέδειξαν ότι ο μέσος χρόνος που χρειάστηκε για να επιτύχουν οι ασθενείς εμφύτευση ουδετερόφιλων (όταν τα μεταμοσχευμένα κύτταρα αρχίζουν να αναπτύσσονται και να παράγουν ουδετερόφιλα, έναν τύπο λευκών αιμοσφαιρίων) μετά τη λήψη του Zemcelpro ήταν 20 ημέρες. Έως την ημέρα 42, σε 21 από τους 25 ασθενείς (84%) είχε επιτευχθεί εμφύτευση ουδετερόφιλων.

Επιπλέον, 40 ημέρες κατά μέσο όρο μετά τη λήψη του Zemcelpro οι ασθενείς πέτυχαν εμφύτευση αιμοπεταλίων (όταν τα μεταμοσχευμένα κύτταρα αρχίζουν να αναπτύσσονται και να παράγουν αιμοπετάλια, συστατικά του αίματος που συμμετέχουν στην πήξη του). Έως την ημέρα 100, σε 17 από τους 25 ασθενείς (68%) είχε επιτευχθεί εμφύτευση αιμοπεταλίων.

Τα παραπάνω αποτελέσματα υποδεικνύουν ότι η μεταμόσχευση ήταν επιτυχής και ότι άρχισαν να παράγονται νέα αιμοσφαίρια στον μυελό των οστών.

Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Zemcelpro;

Ο πλήρης κατάλογος των ανεπιθύμητων ενεργειών και των περιορισμών που αναφέρθηκαν με το Zemcelpro περιλαμβάνεται στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

Οι πιο συχνές ανεπιθύμητες ενέργειες του Zemcelpro (ενδέχεται να εμφανιστούν σε περισσότερους από 1 στους 10 ασθενείς) περιλαμβάνουν λεμφοπενία (χαμηλά επίπεδα λεμφοκυττάρων, ενός τύπου λευκών αιμοσφαιρίων), λοιμώξεις, αναιμία (χαμηλά επίπεδα ερυθρών αιμοσφαιρίων), ουδετεροπενία (χαμηλά επίπεδα ουδετερόφιλων), θρομβοκυτταροπενία (χαμηλά επίπεδα αιμοπεταλίων), λευκοπενία (χαμηλά επίπεδα λευκών αιμοσφαιρίων), υπογαμμασφαιριναιμία (μειωμένα επίπεδα αντισωμάτων στο αίμα), εμπύρετη ουδετεροπενία (χαμηλά επίπεδα ουδετερόφιλων που συνοδεύονται από πυρετό), υπέρταση (υψηλή αρτηριακή πίεση), σύνδρομο εμφύτευσης (επιπλοκή της HSCT με συμπτώματα όπως πυρετό, εξάνθημα και άλλες φλεγμονώδεις αντιδράσεις) και πνευμονία (λοίμωξη των πνευμόνων). Οξεία νόσος μοσχεύματος έναντι ξενιστή (GvHD, όταν τα κύτταρα δότες επιτίθενται στον οργανισμό λίγο μετά τη μεταμόσχευση) αναφέρθηκε στο 60% των ασθενών, ενώ χρόνια νόσος GvHD (η οποία συνήθως αναπτύσσεται αργότερα από ό,τι η οξεία νόσος GvHD, δηλαδή εντός αρκετών εβδομάδων έως μηνών μετά τη μεταμόσχευση) αναφέρθηκε στο 16% των ασθενών.

Ανεπιθύμητες ενέργειες με θανατηφόρο κατάληξη προέκυψαν στο 8 % περίπου των ασθενών που έλαβαν θεραπεία με Zemcelpro και περιλάμβαναν λοιμώξεις, οξεία νόσο μοσχεύματος έναντι ξενιστή (GvHD), κυψελιδική αιμορραγία πνευμόνων (αιμορραγία στις κυψελίδες των πνευμόνων), πνευμονίτιδα (φλεγμονή στους πνεύμονες, όπως το σύνδρομο ιδιοπαθούς πνευμονίας και κρυπτογενής οργανούμενη πνευμονία), καθώς και πνευμονική υπέρταση (υψηλή αρτηριακή πίεση στα αιμοφόρα αγγεία που τροφοδοτούν τους πνεύμονες).

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Zemcelpro στην ΕΕ;

Κατά τον χρόνο χορήγησης της άδειας κυκλοφορίας, η θεραπεία ασθενών με καρκίνους των αιμοσφαιρίων που χρειαζόνταν μεταμόσχευση αρχέγονων αιμοποιητικών κυττάρων και για τους οποίους δεν ήταν διαθέσιμος κανένας άλλος τύπος κατάλληλων κυττάρων δοτών αποτελούσε κλινική πρόκληση. Οι εν λόγω ασθενείς δεν είχαν άλλες διαθέσιμες θεραπευτικές επιλογές και είχαν ελάχιστη πιθανότητα ανάρρωσης.

Με βάση τα αποτελέσματα που προέκυψαν από τον μικρό αριθμό ασθενών που μετέχουν στις εν εξελίξει μελέτες, η αποκατάσταση των ουδετερόφιλων και των αιμοπεταλίων μετά τη θεραπεία με Zemcelpro ήταν ταχεία, ισχυρή και παρατεταμένη, γεγονός που υποδεικνύει ότι το Zemcelpro μπορεί να ωφελήσει τους εν λόγω ασθενείς. Κατά τη χορήγηση της άδειας κυκλοφορίας, η ασφάλεια του Zemcelpro κρίθηκε αποδεκτή στους εν λόγω ασθενείς για τους οποίους δεν υπήρχαν άλλες θεραπευτικές επιλογές.

Το Zemcelpro έχει λάβει έγκριση υπό όρους για χρήση στην ΕΕ. Αυτό σημαίνει ότι το φάρμακο εγκρίθηκε βάσει λιγότερο ολοκληρωμένων δεδομένων από αυτά που συνήθως απαιτούνται, διότι το φάρμακο καλύπτει μια ανικανοποίητη ιατρική ανάγκη. Ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων έκρινε ότι τα οφέλη από την επίσχευση της διάθεσης του φαρμάκου υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με τη χρήση του, εν αναμονή περαιτέρω στοιχείων.

Η εταιρεία πρέπει να παράσχει περαιτέρω δεδομένα για το Zemcelpro. Πρέπει να υποβάλει τα τελικά αποτελέσματα των δύο εν εξελίξει κύριων μελετών και δύο πρόσθετων μελετών με το Zemcelpro, καθώς και να παράσχει δεδομένα από μια άλλη μελέτη που βασίζεται σε μητρώο ασθενών που έλαβαν θεραπεία με Zemcelpro. Ο Οργανισμός θα επανεξετάζει ετησίως κάθε νέο πληροφοριακό στοιχείο που θα είναι διαθέσιμο.

Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Zemcelpro;

Στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης συμπεριλήφθηκαν συστάσεις και πληροφορίες για τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας και τους ασθενείς για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Zemcelpro.

Όπως για όλα τα φάρμακα, τα δεδομένα για τη χρήση του Zemcelpro τελούν υπό συνεχή παρακολούθηση. Οι πιθανολογούμενες ανεπιθύμητες ενέργειες που αναφέρονται για το Zemcelpro θα αξιολογούνται προσεκτικά και θα λαμβάνονται όλα τα απαραίτητα μέτρα για την προστασία των ασθενών.

Λοιπές πληροφορίες για το Zemcelpro

Περισσότερες πληροφορίες για το Zemcelpro διατίθενται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zemcelpro