



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

16 Σεπτεμβρίου 2021
EMA/546292/2021

Η CHMP εγκρίνει το πόρισμα της επανεξέτασης σύμφωνα με το οποίο ο ιικός φορέας στο Zynteglo δεν σχετίζεται με τον καρκίνο του αίματος

Στις 22 Ιουλίου 2021, η Επιτροπή Φαρμάκων για Ανθρώπινη Χρήση (CHMP) του EMA ενέκρινε τα πορίσματα της επανεξέτασης σύμφωνα με τα οποία δεν υπάρχουν στοιχεία που να αποδεικνύουν ότι το Zynteglo προκαλεί τον καρκίνο του αίματος γνωστό ως οξεία μυελογενής λευχαιμία (ΟΜΛ).

Το Zynteglo, μια γονιδιακή θεραπεία για την αιματολογική διαταραχή β-θαλασσαιμία, χρησιμοποιεί έναν ιικό φορέα (ή τροποποιημένο ιό) για τη μεταφορά ενός λειτουργικού γονιδίου στα κύτταρα του αίματος του ασθενούς.

Στο πλαίσιο της επανεξέτασης διερευνήθηκαν δύο περιστατικά ΟΜΛ σε ασθενείς που υποβλήθηκαν σε θεραπεία με το υπό έρευνα φάρμακο bb1111 σε μια κλινική δοκιμή για τη δρεπανοκυτταρική αναιμία. Παρόλο που δεν αναφέρθηκαν περιστατικά ΟΜΛ με το Zynteglo, και τα δύο φάρμακα χρησιμοποιούν τον ίδιο ιικό φορέα και εκφράστηκε η ανησυχία ότι ο φορέας μπορεί να συνδέεται με την ανάπτυξη του καρκίνου (ογκογένεση παρεμβολής).

Από την επανεξέταση που διενήργησε η επιτροπή ασφάλειας του EMA (PRAC), η οποία υποστηρίχθηκε από εμπειρογνώμονες της Επιτροπής Προηγμένων Θεραπειών (CAT), προέκυψε ότι η αιτία δεν ήταν ο ιικός φορέας. Σε έναν από τους ασθενείς, ο ιικός φορέας δεν υπήρχε στα καρκινικά κύτταρα και στον άλλο ασθενή υπήρχε στη θέση ενσωμάτωσης (VAMP4) η οποία δεν φαίνεται να σχετίζεται με την ανάπτυξη του καρκίνου.

Μετά την εξέταση όλων των αποδεικτικών στοιχείων, κατέστη σαφές ότι οι πιο εύλογες εξηγήσεις για τα περιστατικά ΟΜΛ ήταν μεταξύ άλλων η θεραπεία προετοιμασίας την οποία έλαβαν οι ασθενείς για την αφαίρεση των κυττάρων του μυελού των οστών και ο υψηλότερος κίνδυνος εμφάνισης καρκίνου του αίματος σε άτομα με δρεπανοκυτταρική νόσο.

Οι ασθενείς που λαμβάνουν θεραπεία με Zynteglo για β-θαλασσαιμία χρειάζονται επίσης θεραπεία προετοιμασίας για την αφαίρεση των κυττάρων του μυελού των οστών τους πριν από τη λήψη του Zynteglo. Ως εκ τούτου, οι επαγγελματίες του τομέα της υγείας πρέπει να ενημερώνουν ρητά τους ασθενείς που λαμβάνουν Zynteglo σχετικά με τον αυξημένο κίνδυνο εμφάνισης καρκίνου του αίματος από φάρμακα που χρησιμοποιούνται σε θεραπείες προετοιμασίας.



Η CHMP συμφώνησε στην επικαιροποίηση των συστάσεων για την παρακολούθηση των ασθενών. Οι επαγγελματίες του τομέα της υγείας πρέπει πλέον να ελέγχουν τους ασθενείς τους για ενδείξεις καρκίνων του αίματος **τουλάχιστον** μία φορά τον χρόνο για 15 έτη.¹

Η CHMP κατέληξε στο συμπέρασμα ότι τα οφέλη του Zynteglo εξακολουθούν να υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό. Όπως για όλα τα φάρμακα, ο EMA θα παρακολουθεί τα νέα δεδομένα σχετικά με την ασφάλεια του Zynteglo και θα επικαιροποιεί τις συμβουλές προς τους ασθενείς και τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας, όταν απαιτείται.

Πληροφορίες για τους ασθενείς

- Στο πλαίσιο της επανεξέτασης από τον EMA δεν βρέθηκαν στοιχεία που να αποδεικνύουν ότι ο ιικός φορέας στο Zynteglo προκαλεί καρκίνο του αίματος, γνωστό ως οξεία μυελογενής λευχαιμία (ΟΜΛ).
- Το Zynteglo θα συνεχίσει να χρησιμοποιείται όπως και πριν. Ωστόσο, ο επαγγελματίας υγείας που σας παρακολουθεί μπορεί να σας προσκαλεί για έλεγχο καρκίνου συχνότερα από μια φορά ετησίως.
- Εάν έχετε ερωτήσεις σχετικά με τη θεραπεία, απευθυνθείτε στον επαγγελματία του τομέα της υγείας που σας παρακολουθεί.

Πληροφορίες για τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας

- Από την επανεξέταση που διενήργησε ο EMA προέκυψε το συμπέρασμα ότι δεν υπάρχουν αποδεικτικά στοιχεία ότι ο ιικός φορέας στο Zynteglo προκαλεί ΟΜΛ.
- Παρόλο που δύο ασθενείς οι οποίοι είχαν λάβει τον ίδιο ιικό φορέα σε άλλο φάρμακο εμφάνισαν ΟΜΛ, υπάρχουν πιο πειστικές εξηγήσεις από την ογκογένεση παρεμβολής, στις οποίες συμπεριλαμβάνονται η θεραπεία προετοιμασίας που έλαβαν οι ασθενείς και ο υψηλότερος κίνδυνος αιματολογικού καρκίνου σε άτομα με δρεπανοκυτταρική νόσο.
- Οι επαγγελματίες του τομέα της υγείας πρέπει να ενημερώνουν ρητά τους ασθενείς που λαμβάνουν Zynteglo σχετικά με τον αυξημένο κίνδυνο καρκίνων του αίματος από φάρμακα που χρησιμοποιούνται σε θεραπείες προετοιμασίας.
- Οι επαγγελματίες στον τομέα της υγείας θα πρέπει να συνεχίσουν να παρακολουθούν τους ασθενείς για καρκίνο. Ο EMA επικαιροποίησε τη σύστασή του για τον προσυμπτωματικό έλεγχο του καρκίνου, αλλάζοντας την απαίτηση από μία φορά τον χρόνο σε **τουλάχιστον** μία φορά τον χρόνο.

Περισσότερες πληροφορίες σχετικά με το φάρμακο

Το Zynteglo είναι μία εφάπαξ θεραπεία που χορηγείται για την αιματολογική διαταραχή γνωστή ως β-μεσογειακή αναιμία σε ασθενείς 12 ετών και άνω, οι οποίοι χρειάζονται τακτικές μεταγγίσεις αίματος.

Για την παρασκευή του Zynteglo, τα βλαστικά κύτταρα που λαμβάνονται από το αίμα του ασθενούς τροποποιούνται από έναν ιό ο οποίος φέρει στα κύτταρα αντίγραφα του γονιδίου β-σφαιρίνης. Όταν αυτά τα τροποποιημένα κύτταρα χορηγούνται εκ νέου στον ασθενή, μεταφέρονται μέσω της κυκλοφορίας του αίματος στον μυελό των οστών, όπου αρχίζουν να παράγουν υγιή ερυθρά αιμοσφαίρια.

¹ Σύμφωνα με την προηγούμενη σύσταση οι επαγγελματίες του τομέα της υγείας έπρεπε να ελέγχουν για τυχόν ενδείξεις καρκίνου μία φορά τον χρόνο.

τα οποία με τη σειρά τους παράγουν β-σφαιρίνη. Τα αποτελέσματα του Zynteglo αναμένονται να διατηρηθούν καθ' όλη τη διάρκεια ζωής του ασθενούς.

Το Zynteglo έλαβε άδεια κυκλοφορίας υπό όρους τον Μάιο του 2019. Η «έγκριση υπό όρους» σημαίνει ότι αναμένονται περισσότερα αποδεικτικά στοιχεία σχετικά με το φάρμακο, τα οποία θα προσκομίσει η εταιρεία. Ο EMA θα επανεξετάζει τακτικά τις νέες πληροφορίες που καθίστανται διαθέσιμες.

Περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη διαδικασία

Η επανεξέταση του Zynteglo ξεκίνησε στις 18 Φεβρουαρίου 2021 κατόπιν αιτήματος της Ευρωπαϊκής Επιτροπής, δυνάμει του [άρθρου 20 του κανονισμού \(ΕΚ\) αριθ. 726/2004](#).

Η επανεξέταση διενεργήθηκε αρχικά από την Επιτροπή Φαρμακοεπαγρύπνησης-Αξιολόγησης Κινδύνου (PRAC), την αρμόδια επιτροπή για την αξιολόγηση ζητημάτων ασφάλειας των φαρμάκων που προορίζονται για ανθρώπινη χρήση, η οποία συνεργάστηκε στενά με εμπειρογνώμονες από την [Επιτροπή Προηγμένων Θεραπειών \(CAT\)](#).

Οι συστάσεις της PRAC υποβλήθηκαν στην CAT, η οποία ενέκρινε σχέδιο γνώμης στις 16 Ιουλίου 2021 σύμφωνα με τις συστάσεις της PRAC και, στη συνέχεια, στην Επιτροπή Φαρμάκων για Ανθρώπινη Χρήση (CHMP), η οποία είναι αρμόδια για κάθε ζήτημα που αφορά φάρμακα για ανθρώπινη χρήση. Στις 22 Ιουλίου 2021, η CHMP ενέκρινε την οριστική γνώμη του Οργανισμού, λαμβάνοντας υπόψη το σχέδιο γνώμης της CAT. Η γνώμη της CHMP διαβιβάστηκε στην Ευρωπαϊκή Επιτροπή, η οποία στις 16 Σεπτεμβρίου 2021 εξέδωσε οριστική και νομικά δεσμευτική απόφαση που ισχύει σε όλα τα κράτη μέλη της ΕΕ.