



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/370162/2021
EMA/H/C/00462

Abecma (idecabtagene vicleucel)

Ανασκόπηση του Abecma και αιτιολογικό έγκρισης στην ΕΕ

Τι είναι το Abecma και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Abecma είναι φάρμακο που χρησιμοποιείται για τη θεραπεία ενηλίκων με πολλαπλό μυέλωμα (καρκίνος του μυελού των οστών) όταν ο καρκίνος έχει επανεμφανιστεί (υποτροπιάσει) ή δεν έχει ανταποκριθεί στη θεραπεία (ανθεκτικός). Χορηγείται σε ενήλικες οι οποίοι έχουν λάβει τουλάχιστον τρεις προηγούμενες θεραπείες, συμπεριλαμβανομένου ενός ανοσορρυθμιστικού παράγοντα, ενός αναστολέα πρωτεασώματος και ενός αντισώματος anti-CD38, και των οποίων η νόσος έχει επιδεινωθεί από την τελευταία θεραπεία.

Το Abecma είναι ένα είδος φαρμάκου προηγμένης θεραπείας που ονομάζεται «γονιδιακή θεραπεία». Αυτό το είδος φαρμάκου δρα μέσω της χορήγησης γονιδίων στον οργανισμό.

Το πολλαπλό μυέλωμα είναι σπάνια νόσος και το Abecma χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χρησιμοποιείται σε σπάνιες ασθένειες) στις 20 Απριλίου 2017. Περισσότερες πληροφορίες για τον χαρακτηρισμό ενός φαρμάκου ως ορφανού μπορείτε να βρείτε εδώ:

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu3171863>

Το Abecma περιέχει τη δραστική ουσία idecabtagene vicleucel.

Πώς χρησιμοποιείται το Abecma;

Το Abecma παρασκευάζεται με τη χρήση λευκών αιμοσφαιρίων του ίδιου του ασθενούς, τα οποία εξάγονται από το αίμα και τροποποιούνται γενετικά στο εργαστήριο. Το Abecma μπορεί να χορηγηθεί μόνο στον ασθενή του οποίου τα κύτταρα χρησιμοποιήθηκαν για την παρασκευή του φαρμάκου.

Χορηγείται ως εφάπαξ έγχυση (ενστάλαξη) σε φλέβα. Πριν από τη χορήγηση Abecma, ο ασθενής πρέπει να υποβληθεί σε σύντομο κύκλο χημειοθεραπείας για να απομακρύνει τα λευκά αιμοσφαίρια που υπάρχουν. Ακριβώς πριν από την έγχυση, οι ασθενείς λαμβάνουν παρακεταμόλη και ένα αντιισταμινικό φάρμακο για να μειωθεί ο κίνδυνος αντιδράσεων στην έγχυση.

Πρέπει να υπάρχει διαθέσιμο ένα φάρμακο που ονομάζεται τοκιλιζουμάμπη και εξοπλισμός αντιμετώπισης επείγουσας κατάστασης, σε περίπτωση που ο ασθενής εμφανίσει μια δυνητικά σοβαρή ανεπιθύμητη ενέργεια που ονομάζεται σύνδρομο απελευθέρωσης κυτοκινών (βλ. παρακάτω την παράγραφο σχετικά με τους κινδύνους).

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



Οι ασθενείς πρέπει να παρακολουθούνται στενά για δέκα ημέρες μετά τη θεραπεία για τυχόν ανεπιθύμητες ενέργειες και συνιστάται να παραμείνουν κοντά σε εξειδικευμένο νοσοκομείο για τουλάχιστον τέσσερις εβδομάδες μετά τη θεραπεία.

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

Πώς δρα το Abecma;

Το Abecma περιέχει T κύτταρα (τύπος λευκών αιμοσφαιρίων) του ίδιου του ασθενούς, τα οποία έχουν τροποποιηθεί γενετικά στο εργαστήριο έτσι ώστε να παράγουν μια πρωτεΐνη που ονομάζεται «χιμαιρικός αντιγονικός υποδοχέας (CAR). Η CAR μπορεί να προσκολλάται στην επιφάνεια των καρκινικών κυττάρων σε μια πρωτεΐνη που ονομάζεται αντιγόνο ωρίμανσης των B κυττάρων (BCMA).

Όταν το Abecma χορηγείται στον ασθενή, τα τροποποιημένα T κύτταρα προσκολλώνται στην BCMA και στη συνέχεια σκοτώνουν τα καρκινικά κύτταρα, βοηθώντας έτσι στην εκκαθάριση του καρκίνου από τον οργανισμό.

Ποια είναι τα οφέλη του Abecma σύμφωνα με τις μελέτες;

Μια βασική μελέτη στην οποία μετείχαν 140 ασθενείς με πολλαπλό μυέλωμα οι οποίοι δεν είχαν ανταποκριθεί σε προηγούμενη θεραπεία (ανθιστάμενο μυέλωμα) ή είχαν υποτροπιάσει (υποτροπιάζον μυέλωμα) κατέδειξε ότι το Abecma είναι αποτελεσματικό στην εξάλειψη του καρκίνου. Συνολικά, το 30% των ασθενών αποκρίθηκε πλήρως (δηλαδή δεν εμφάνιζε πλέον ενδείξεις του καρκίνου) και το 67% αποκρίθηκε τουλάχιστον μερικώς μετά τη θεραπεία με το Abecma.

Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Abecma;

Οι συχνότερες ανεπιθύμητες ενέργειες (ενδέχεται να εμφανιστούν σε περισσότερα από 1 στα 10 άτομα) είναι ουδετεροπενία (χαμηλά επίπεδα ουδετερόφιλων, ενός τύπου λευκών αιμοσφαιρίων), σύνδρομο απελευθέρωσης κυτοκινών (μια δυνητικά απειλητική για τη ζωή πάθηση που μπορεί να προκαλέσει πυρετό, έμετο, δύσπνοια, πόνο και χαμηλή αρτηριακή πίεση), αναιμία (χαμηλά επίπεδα ερυθρών αιμοσφαιρίων), θρομβοκυτταροπενία (χαμηλά επίπεδα αιμοπεταλίων), λοιμώξεις, λευκοπενία (χαμηλά επίπεδα λευκών αιμοσφαιρίων), κόπωση, διάρροια, υποκαλιαιμία (χαμηλά επίπεδα καλίου στο αίμα), υποφωσφαταιμία (χαμηλά επίπεδα φωσφόρου στο αίμα), ναυτία (αίσθημα αδιαθεσίας), λεμφοπενία (χαμηλά επίπεδα λεμφοκυττάρων), πυρετός, βήχας, υπασβεστιαίμια (χαμηλά επίπεδα ασβεστίου στο αίμα), πονοκέφαλος, υπομαγνησιαιμία (χαμηλά επίπεδα μαγνησίου), λοίμωξη του ανώτερου αναπνευστικού συστήματος (λοίμωξη της μύτης και του φάρυγγα), πόνος στις αρθρώσεις, περιφερικό οίδημα (πρήξιμο, ιδίως στους αστραγάλους και τα πόδια), μειωμένη όρεξη, υπογαμμασφαιριναιμία (χαμηλά επίπεδα ανοσοσφαιρίνης) και εμπύρετη ουδετεροπενία (χαμηλά επίπεδα ουδετερόφιλων στο αίμα με πυρετό).

Στις συχνότερες σοβαρές ανεπιθύμητες ενέργειες περιλαμβάνονται το σύνδρομο απελευθέρωσης κυτοκινών (17%), η πνευμονία (7%), η εμπύρετη ουδετεροπενία (6%) και ο πυρετός (6%).

Τα άτομα που δεν μπορούν να υποβληθούν σε χημειοθεραπεία για την εξάλειψη των υπαρχόντων λευκών αιμοσφαιρίων (όπως υποδεικνύεται στο φύλλο οδηγιών χρήσης της σχετικής χημειοθεραπείας) δεν πρέπει να λαμβάνουν το Abecma.

Για τον πλήρη κατάλογο όλων των ανεπιθύμητων ενεργειών και των περιορισμών που έχουν αναφερθεί με το Abecma, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης.

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Abecma στην ΕΕ;

Το Abecma οδήγησε σε κλινικά σημαντικά ποσοστά απόκρισης σε ασθενείς με πολλαπλό μυέλωμα, όταν ο καρκίνος είχε υποτροπιάσει ή δεν ανταποκρίθηκε στη θεραπεία. Ενδέχεται να εκδηλωθούν σοβαρές ανεπιθύμητες ενέργειες, ιδίως το σύνδρομο απελευθέρωσης κυτοκινών. Ωστόσο, είναι διαχειρίσιμες εφόσον ληφθούν τα κατάλληλα μέτρα (βλ. παρακάτω). Ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων αποφάσισε ότι τα οφέλη του Abecma υπερτερούν των διαπιστωθέντων κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε την έγκριση του εν λόγω φαρμάκου στην ΕΕ.

Το Abecma έχει λάβει «έγκριση υπό όρους». Αυτό σημαίνει ότι αναμένονται περισσότερα δεδομένα σχετικά με το φάρμακο, τα οποία η εταιρεία υποχρεούται να προσκομίσει. Ο Οργανισμός θα επανεξετάζει κάθε νέο πληροφοριακό στοιχείο που θα είναι διαθέσιμο και η παρούσα ανασκόπηση θα ενημερώνεται αναλόγως.

Ποια στοιχεία για το Abecma αναμένεται να υποβληθούν;

Δεδομένου ότι στο Abecma χορηγήθηκε άδεια κυκλοφορίας υπό όρους, η εταιρεία που εμπορεύεται το Abecma θα υποβάλει δεδομένα παρακολούθησης 24 μηνών για τους ασθενείς που θα προκύψουν από τη βασική μελέτη. Επιπλέον, η εταιρεία θα διενεργήσει μελέτη για τη σύγκριση του Abecma με την κλασική χημειοθεραπεία σε άτομα με υποτροπιάζον και ανθιστάμενο πολλαπλό μυέλωμα.

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

Η εταιρεία που εμπορεύεται το Abecma πρέπει:

- να διασφαλίζει ότι τα νοσοκομεία στα οποία χορηγείται το φάρμακο διαθέτουν κατάλληλη εμπειρογνωμοσύνη, εγκαταστάσεις και εκπαίδευση. Πρέπει να υπάρχει διαθέσιμη τοκιλιζουμάμπη σε περίπτωση εμφάνισης συνδρόμου απελευθέρωσης κυτοκινών.
- Να παρέχει εκπαιδευτικό υλικό στους επαγγελματίες του τομέα της υγείας και τους ασθενείς σχετικά με πιθανές ανεπιθύμητες ενέργειες, ειδικότερα το σύνδρομο απελευθέρωσης κυτοκινών.

Η εταιρεία πρέπει επίσης να πραγματοποιήσει μελέτη για τη συγκέντρωση περισσότερων πληροφοριών σχετικά με τη μακροπρόθεσμη ασφάλεια του Abecma.

Στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης συμπεριλήφθηκαν επίσης 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 Abecma.

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

Λοιπές πληροφορίες για το Abecma

Περισσότερες πληροφορίες για το Abecma διατίθενται στον διαδικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/abecma