



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Abecma (*idekabtageenivikleuseeli*)

Yleisiä tietoja Abecma-valmisteesta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Abecma on ja mihin sitä käytetään?

Abecma on lääke, jolla hoidetaan aikuisten multippelia myeloomaa (luuydinsyöpää), kun syöpä on uusiutunut eikä hoito ei ole tehonnut siihen. Sitä käytetään aikuisilla, jotka ovat saaneet aiemmin vähintään kolmea hoitoa, mukaan lukien immuunivastetta muuntavaa lääkettä, proteasomin estäjää ja anti-CD38-vasta-ainetta, ja joiden sairaus on pahentunut viimeisimmän hoidon jälkeen.

Abecma on pitkälle kehittyneissä hoidoissa käytettävä ns. geeniterapiavalmiste. Tällaiset lääkkeet vaikuttavat kuljettamalla geenejä elimistöön.

Multippeli myelooma on harvinainen sairaus, joten Abecma nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 20. huhtikuuta 2017. Lisää tietoa harvinaislääkkeistä:

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

Abecman vaikuttava aine on idekabtageenivikleuseeli.

Miten Abecmaa käytetään?

Abecma valmistetaan potilaan omista valkosoluista, jotka on eristetty potilaan verestä ja geenimuokattu laboratoriossa. Abecmaa voidaan antaa vain samalle potilaalle, jonka soluja on käytetty lääkkeen valmistamiseen.

Se annetaan yhtenä infuusiona (tiputuksena) laskimoon. Ennen Abecman antamista potilaalle annetaan lyhyt solunsalpaajahoitojakso olemassa olevien valkosolujen hävittämiseksi. Juuri ennen infuusiota potilaalle annetaan parasetamolia ja antihistamiinia, joilla pienennetään infuusioreaktioiden riskiä.

Saatavilla on myös oltava tosilitsumabia ja ensiapuvälineet sen varalta, että potilaalla ilmenee sytokiinioreyhtymä, joka on vakava haittavaikutus (ks. jäljempänä riskejä käsittelevä kohta).

Potilaita on seurattava tarkkaan haittavaikutusten varalta 10 vuorokauden ajan hoidon jälkeen, ja heitä on ohjeistettava pysymään sairauden hoitoon erikoistuneen sairaalan läheisyydessä ainakin 4 viikon ajan hoidon jälkeen.

Lisätietoja Abecman käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

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



Miten Abecma vaikuttaa?

Abecma sisältää potilaan omia T-soluja (tiettyjä veren valkosoluja), joita on muokattu geneettisesti laboratoriossa siten, että ne muodostavat proteiinia nimeltä kimeerinen antigeenireseptori (CAR). CAR voi kiinnittyä syöpäsolujen pinnalla esiintyvään proteiiniin, jota kutsutaan B-solumaturaatioantigeeniksi (BCMA).

Kun potilaalle annetaan Abecmaa, muokatut T-solut kiinnittyvät BCMA:han ja tappavat syöpäsoluja, mikä auttaa hävittämään syövän elimistöstä.

Mitä hyötyä Abecmasta on havaittu tutkimuksissa?

Päätutkimuksessa, johon osallistui 140 multippelia myeloomaa sairastavaa potilasta, joilla aiempi hoito ei ollut tehonnut (refraktorinen myelooma) ja joiden syöpä oli uusiutunut (relapsoiva myelooma), osoitettiin, että Abecma on tehokas syövän hävittämisessä. Kaiken kaikkiaan 30 prosenttia potilaista saavutti täydellisen hoitovasteen (eli syövästä ollut mitään merkkejä jäljellä) ja 67 prosenttia saavutti vähintään osittaisen hoitovasteen Abecmalla annetulle hoidolle.

Mitä riskejä Abecmaan liittyy?

Yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua useammalle kuin yhdelle potilaalle kymmenestä) ovat neutropenia (neutrofiilien, erään valkosolutyyppin, niukkuus), sytokiinioireyhtymä (mahdollisesti hengenvaarallinen sairaus, joka voi aiheuttaa kuumetta, oksentelua, hengenahdistusta, kipua ja verenpaineen alenemista), anemia (veren punasolujen niukkuus), trombosytopenia (verihiutaleiden niukkuus), infektiot, leukopenia (veren valkosolujen niukkuus), väsymys, ripuli, hypokalemia (veren alhainen kaliumtaso), hypofosfatemia (veren alhainen fosfaattitaso), pahoinvointi, lymfopenia (lymfosyyttien niukkuus), kuume, yskä, hypokalsemia (veren alhainen kalsiumtaso), päänsärky, hypomagnesemia (veren alhainen magnesiumtaso), ylähengitysteiden infektio (nenän ja kurkun infektio), nivelkipu, perifeerinen ödeema (turvotus erityisesti nilkoissa ja jalkaterissä), heikentynyt ruokahalu, hypogammaglobulinemia (immunoglobuliinien niukkuus) ja kuumeinen neutropenia (veren neutrofiilien niukkuus, johon liittyy kuumetta).

Yleisimmät vakavat haittavaikutukset ovat sytokiinioireyhtymä (17 %), keuhkokuume (7 %), kuumeinen neutropenia (6 %) ja kuume (6 %).

Abecmaa ei saa antaa potilaille, joille ei voida antaa solunsalpaajahoitoa olemassa olevien valkosolujen hävittämiseksi (kyseessä olevan solunsalpaajahoidon pakkausselosteen mukaisesti).

Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Abecman haittavaikutuksista ja rajoituksista.

Miksi Abecma on hyväksytty EU:ssa?

Abecma sai aikaan kliinisesti merkitsevän hoitovasteen tason multippelia myeloomaa sairastavilla potilailla, joiden syöpä oli uusiutunut ja joilla aiempi hoito ei ollut tehonnut. Vakavia haittavaikutuksia, etenkin sytokiinioireyhtymää, voi esiintyä. Ne ovat kuitenkin hoidettavissa, jos asianmukaisista varotoimista huolehditaan (ks. jäljempänä). Euroopan lääkevirasto katsoi, että Abecman hyöty on sen riskejä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Abecmalle annettiin ns. ehdollinen myyntilupa. Tämä tarkoittaa, että lääkevalmisteesta on odotettavissa lisää tietoa, minkä yhtiö on velvollinen toimittamaan. Euroopan lääkevirasto tarkastaa vuosittain mahdollisesti saataville tulevat uudet tiedot, ja tätä katsausta päivitetään tarvittaessa.

Mitä tietoja Abecmasta odotetaan vielä saatavan?

Koska Abecmalle on annettu ehdollinen myyntilupa, Abecmaa markkinoiva yhtiö toimittaa 24 kuukauden seurantatiedot päätutkimukseen osallistuneista potilaista. Lisäksi yhtiö toteuttaa tutkimuksen, jossa Abecmaa verrataan tavanomaiseen solunsalpaajahoitoon potilailla, joilla on uusiutunut tai hoitoon vastaamaton multippeli myelooma.

Miten voidaan varmistaa Abecman turvallinen ja tehokas käyttö?

Abecmaa markkinoivan yhtiön on

- varmistettava, että sairaaloissa, joissa lääkevalmistetta annetaan, on asianmukaista asiantuntemusta ja asianmukaiset tilat ja koulutusvalmiudet. Tosilitsumabia on oltava saatavilla sytokiinioireyhtymän varalta.
- toimitettava perehdytysmateriaalia terveydenhuollon ammattilaisille ja potilaille mahdollisista haittavaikutuksista, erityisesti sytokiinioireyhtymästä.

Yhtiön on myös tehtävä tutkimus lisätietojen saamiseksi Abecman pitkän aikavälin turvallisuudesta.

Suosituksien ja varotoimien, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Abecman käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät myös valmisteyhteenvedon ja pakkausselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Abecman käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Abecmasta ilmoitetut haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet suoritetaan potilaiden suojelemiseksi.

Muita tietoja Abecmasta

Lisää tietoa Abecmasta on saatavissa viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/abecma