



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Abecma (*idecabtagen vicleucel*)

Az Abecma-ra vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

### **Milyen típusú gyógyszer az Abecma és milyen betegségek esetén alkalmazható?**

Az Abecma mielóma multiplexben (csontvelődaganat) szenvedő felnőttek kezelésére alkalmazott gyógyszer, amikor a daganat kiújult (relapszált) és nem reagált a kezelésre (refrakter). Olyan felnőtteknél alkalmazzák, akik legalább három korábbi terápiában részesültek, amelyekben immunmoduláló szert, proteaszóma-gátlót és anti-CD38 antitestet kaptak, és akiknek a betegsége az utolsó kezelés óta súlyosbodott.

Az Abecma a fejlett terápiás gyógyszerek egy típusa, amelyet „génterápiás gyógyszernek” neveznek. Ez a gyógyszertípus azért fejti ki hatását, hogy géneket juttat a szervezetbe.

Mivel a mielóma multiplex „ritkának” minősül, ezért az Abecma-t 2017. április 20-án „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről itt található:

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

Az Abecma hatóanyaga az idcabtagen vicleucel.

### **Hogyan kell alkalmazni az Abecma-t?**

Az Abecma-t a beteg véréből kivont saját fehérvérsejtjeiből állítják elő laboratóriumban végzett genetikai módosítás útján. Az Abecma csak annak a betegnek adható, akinek a sejtjeit a gyógyszer előállításához felhasználták.

A gyógyszert egyszeri vénás infúzióban kell beadni. Az Abecma alkalmazása előtt a betegnek rövid időtartamú kemoterápiát kell kapnia, hogy a meglévő fehérvérsejtjeit elpusztítsák. Közvetlenül az infúzió előtt a betegek paracetamolt és antihisztamint kapnak az infúzióra adott reakciók kockázatának csökkentésére.

A tocilizumab nevű gyógyszernek és a sürgősségi ellátás eszközeinek is rendelkezésre kell állniuk arra az esetre, ha a betegnél a citokin felszabadulási szindróma (lásd a kockázatokról szóló részt lent) nevű potenciálisan veszélyes mellékhatás alakulna ki.

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



A kezelés után 10 napig fokozott megfigyelés alatt kell tartani a beteget a mellékhatások észlelése érdekében, és a kezelés után legalább 4 hétig ajánlatos szakellátást végző kórház közelében tartózkodnia.

Az Abecma alkalmazásával kapcsolatban további információért olvassa el a betegtájékoztatót, illetve kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

## **Hogyan fejti ki hatását az Abecma?**

Az Abecma a beteg saját T-sejtjeit (a fehérvérsejtek egyik típusa) tartalmazza, melyeket laboratóriumban genetikailag módosítottak, hogy egy kiméra antigénreceptor (CAR) nevű fehérjét állítsanak elő. A CAR képes a daganatsejtek felszínén a B-sejt maturációs antigénnek (BCMA) nevezett fehérjéhez kötődni.

Amikor az Abecma-t beadják a betegnek, a módosított T-sejtek a BCMA-hoz kötődnek, majd elpusztítják a daganatsejteket, így segítve elő, hogy a daganat eltűnjön a szervezetből.

## **Milyen előnyei voltak az Abecma alkalmazásának a vizsgálatok során?**

Egy fő vizsgálat, amelyben 140 olyan mielóma multiplexben szenvedő beteg vett részt, akik nem reagáltak a korábbi kezelésre (refrakter mielóma), és betegségük kiújult (relapszált mielóma), azt mutatta, hogy az Abecma hatásos a daganat elpusztításában. Összességében 30%-uknál alakult ki teljes válasz (ami azt jelenti, hogy nem voltak jelei a daganat visszamaradásának), 67%-uknál pedig legalább részleges válasz alakult ki az Abecma-kezelést követően.

## **Milyen kockázatokkal jár az Abecma alkalmazása?**

A leggyakoribb mellékhatások (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a neutropénia (a fehérvérsejtek egy típusának, a neutrofileknek az alacsony szintje), citokin felszabadulási szindróma (egy potenciálisan életveszélyes állapot, amely lázat, hányást, légszomjat, fájdalmat és alacsony vérnyomást okozhat), vérszegénység (alacsony vörösvérsejtszám), trombocitopénia (alacsony vérlemezkészám), fertőzések, leukopénia (alacsony fehérvérsejtszám), fáradtság, hasmenés, hipokalémia (a vér alacsony káliumszintje), hipofoszfatémia (a vér alacsony foszfátszintje), hányinger, limfopénia (a limfociták alacsony szintje), láz, köhögés, hipokalcémia (a vér alacsony kalciumszintje), fejfájás, hipomagnezémia (a vér alacsony magnéziumszintje), felső légúti fertőzés (orr- és garatfertőzés), ízületi fájdalom, perifériás ödéma (különösen a boka és a lábfej duzzanata), csökkent étvágy, hipogammaglobulinémia (alacsony immunglobulinszint) és a lázas neutropénia (lázalattal társuló alacsony neutrofilszint a vérben).

A leggyakoribb súlyos mellékhatások közé tartozik a citokin felszabadulási szindróma (17%), a tüdőgyulladás (7%), a lázas neutropénia (6%) és a láz (6%).

Azok a betegek, akik nem kaphatnak kemoterápiát a meglévő fehérvérsejtek eltávolítása céljából (az adott kemoterápia betegtájékoztatója szerint), nem kaphatnak Abecma-t.

Az Abecma alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

## **Miért engedélyezték az Abecma forgalomba hozatalát az EU-ban?**

Az Abecma klinikailag jelentős válaszarányt eredményezett azoknál a mielóma multiplexben szenvedő betegeknél, akiknél a daganat kiújult és nem reagált a kezelésre. Súlyos mellékhatások, különösen citokin felszabadulási szindróma, alakulhatnak ki; ezek azonban megfelelő intézkedésekkel kezelhetők

(lásd alább). Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy az Abecma alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

Az Abecma-t „feltételes forgalombahozatali engedéllyel” engedélyezték. Ez azt jelenti, hogy a gyógyszerrel kapcsolatban további tudományos bizonyítékok várhatók, amelyek benyújtására kötelezték a vállalatot. Az Európai Gyógyszerügynökség évente felülvizsgál minden újonnan hozzáférhető információt, és szükség esetén aktualizálja ezt az áttekintést.

## **Milyen információk várhatók még az Abecma-val kapcsolatban?**

Mivel az Abecma forgalomba hozatalát feltételes forgalombahozatali engedéllyel engedélyezték, az Abecma-t forgalmazó vállalat 24 hónapos utánkövetési adatokat fog benyújtani a fő vizsgálatból a betegekre vonatkozóan. Ezenfelül a vállalat vizsgálatot fog végezni, hogy összehasonlítsa az Abecma-t a standard kemoterápiával relapszusos és refrakter mielóma multiplexben szenvedő betegeknél.

## **Milyen intézkedések vannak folyamatban az Abecma biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?**

Az Abecma-t forgalmazó vállalatnak:

- biztosítani kell, hogy a gyógyszert alkalmazó kórházak rendelkezzenek megfelelő szakértelemmel, létesítményekkel és képzéssel. A tocilizumabnak rendelkezésre kell állnia citokin felszabadulási szindróma esetén.
- biztosítani kell az egészségügyi szakemberek és a betegek számára a lehetséges mellékhatásokról, különösen a citokin felszabadulási szindrómáról szóló tájékoztató anyagokat.

A vállalatnak ezen kívül az Abecma hosszú távú biztonságosságával kapcsolatos további információk megszerzése érdekében vizsgálatot kell végeznie.

Az Abecma biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések szintén feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

Az Abecma alkalmazásával kapcsolatban felmerülő információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan figyelemmel kísérik. Az Abecma alkalmazásával összefüggésben jelentett feltételezett mellékhatásokat gondosan értékelik és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

## **Az Abecma-val kapcsolatos egyéb információ**

További információ az Abecma gyógyszerről az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/abecma](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/abecma)