



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Abecma (*idecabtagene vicleucel*)

Sintesi di Abecma e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Cos'è Abecma e per cosa si usa?

Abecma è un medicinale usato per il trattamento di adulti con mieloma multiplo (un cancro del midollo osseo) recidivante (che si è ripresentato) e refrattario (che non ha risposto al trattamento). È usato negli adulti che hanno seguito almeno tre precedenti terapie, tra cui a base di un agente immunomodulatore, un inibitore del proteasoma e un anticorpo anti-CD38, e la cui malattia è peggiorata dall'ultimo trattamento.

Abecma è un tipo di medicinale per terapia avanzata denominato "terapia genica", ossia un tipo di medicinale che agisce introducendo geni nell'organismo.

Il mieloma multiplo è raro e Abecma è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 20 aprile 2017. Maggiori informazioni sulla qualifica di medicinale orfano sono disponibili sul sito web: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu3171863>.

Abecma contiene il principio attivo idecabtagene vicleucel.

Come si usa Abecma?

Abecma è preparato utilizzando i globuli bianchi del paziente che sono estratti dal sangue e geneticamente modificati in laboratorio. Abecma può essere somministrato solo al paziente dal quale sono state prelevate le cellule per prepararlo.

Abecma viene somministrato come singola infusione (flebo) in vena. Prima di assumerlo, il paziente deve sottoporsi a un breve ciclo di chemioterapia per eliminare i globuli bianchi esistenti. Poco prima dell'infusione al paziente sono somministrati paracetamolo e un antistaminico per ridurre il rischio di reazioni all'infusione.

Deve essere disponibile un medicinale a base di tocilizumab e apparecchiature di emergenza nel caso in cui il paziente manifestasse un potenziale effetto indesiderato grave, la sindrome da rilascio di citochine (vedere la sezione sui rischi in basso).

I pazienti devono essere attentamente monitorati per 10 giorni dopo il trattamento ai fini del controllo degli effetti indesiderati; inoltre, è consigliabile che soggiornino nelle vicinanze di un ospedale specializzato per almeno 4 settimane dopo il trattamento.

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



Per maggiori informazioni sull'uso di Abecma, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.

Come agisce Abecma?

Abecma contiene cellule T (un tipo di globuli bianchi) del paziente, che sono state modificate geneticamente in laboratorio in modo da creare una proteina chiamata recettore chimerico per l'antigene (CAR). Sulla superficie delle cellule tumorali il CAR può legarsi a una proteina denominata antigene di maturazione delle cellule B (BCMA).

Quando Abecma viene somministrato al paziente, le cellule T modificate si legano al BCMA e sopprimono le cellule tumorali, contribuendo in tal modo a eliminare il cancro dall'organismo.

Quali benefici di Abecma sono stati evidenziati negli studi?

Uno studio principale condotto su 140 pazienti affetti da mieloma multiplo che non rispondeva al trattamento precedente (mieloma refrattario) e che si era ripresentato (mieloma recidivante) ha evidenziato che Abecma è efficace nell'eliminare il cancro. Nel complesso, dopo il trattamento con Abecma il 30 % ha avuto una risposta completa (ossia non ha mostrato alcun segno di cancro residuo) e il 67 % ha avuto una risposta almeno parziale.

Quali sono i rischi associati ad Abecma?

Gli effetti indesiderati più comuni (che possono riguardare più di 1 persona su 10) sono neutropenia (bassi livelli di neutrofili, un tipo di globuli bianchi), sindrome da rilascio di citochine (un'affezione potenzialmente mortale che può causare febbre, vomito, respiro affannoso, dolore e pressione arteriosa bassa), anemia (bassa conta di globuli rossi), trombocitopenia (bassa conta di piastrine), infezioni, leucopenia (bassa conta di globuli bianchi), stanchezza, diarrea, ipokaliemia (bassi livelli di potassio nel sangue), ipofosfatemia (bassi livelli di fosfato nel sangue), nausea, linfopenia (bassi livelli di linfociti), febbre, tosse, ipocalcemia (bassi livelli di calcio nel sangue), cefalea, ipomagnesiemia (bassi livelli di magnesio nel sangue), infezione del tratto respiratorio superiore (naso e gola), dolore articolare, edema periferico (tumefazione, specialmente delle caviglie e dei piedi), appetito ridotto, ipogammaglobulinemia (bassi livelli di immunoglobuline) e neutropenia febbrile (bassi livelli di neutrofili con febbre).

Gli effetti indesiderati gravi più comuni sono sindrome da rilascio di citochine (17 %), polmonite (7 %), neutropenia febbrile (6 %) e febbre (6 %).

Le persone che non possono essere sottoposte a chemioterapia per eliminare i globuli bianchi esistenti (come da foglio illustrativo della chemioterapia in questione) non devono assumere Abecma.

Per l'elenco completo delle limitazioni e degli effetti indesiderati con Abecma, vedere il foglio illustrativo.

Perché Abecma è autorizzato nell'UE?

Abecma ha indotto tassi di risposta clinicamente significativi in pazienti con mieloma multiplo quando il cancro aveva recidivato e non aveva risposto al trattamento. Possono verificarsi gravi effetti indesiderati, in particolare la sindrome da rilascio di citochine; tuttavia tali effetti sono gestibili se vengono adottate misure adeguate (vedere di seguito). L'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Abecma sono superiori ai rischi e che il suo uso può essere autorizzato nell'UE.

Abecma ha ottenuto una "autorizzazione subordinata a condizioni". Questo significa che in futuro saranno disponibili ulteriori informazioni sul medicinale, che la ditta è tenuta a fornire. Ogni anno l'Agenzia esaminerà le nuove informazioni disponibili e questa sintesi sarà aggiornata di conseguenza.

Quali informazioni sono ancora attese per Abecma?

Poiché per Abecma è stata rilasciata un'autorizzazione subordinata a condizioni, la ditta che lo commercializza fornirà dati di follow-up a 24 mesi sui pazienti dello studio principale. Inoltre, la ditta condurrà uno studio per confrontare Abecma con chemioterapia standard in persone con mieloma multiplo recidivante e refrattario.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Abecma?

La ditta che commercializza Abecma deve:

- garantire che gli ospedali in cui viene somministrato il medicinale dispongano di competenze, strutture e formazione adeguate. In caso di sindrome da rilascio di citochine deve essere disponibile tocilizumab;
- fornire materiale informativo agli operatori sanitari e ai pazienti sui possibili effetti indesiderati, in particolare la sindrome da rilascio di citochine.

Inoltre, la ditta deve condurre uno studio per ottenere maggiori informazioni sulla sicurezza a lungo termine di Abecma.

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Abecma sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate anche nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Abecma sono costantemente monitorati. Gli effetti indesiderati riportati con Abecma sono valutati attentamente e qualsiasi azione necessaria alla salvaguardia dei pazienti è intrapresa.

Altre informazioni su Abecma

Ulteriori informazioni su Abecma sono disponibili sul sito web dell'Agenzia:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/abecma.