



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Abecma (*idekabtagen wikleucel*)

Przegląd wiedzy na temat leku Abecma i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

Czym jest lek Abecma i w jakim celu się go stosuje

Abecma jest lekiem stosowanym w leczeniu osób dorosłych ze szpiczakiem mnogim (rak szpiku kostnego), gdy wystąpił nawrót nowotworu (szpiczak nawrotowy) i nie wystąpiła odpowiedź na leczenie (oporny na leczenie). Lek stosuje się u osób dorosłych, które wcześniej otrzymały co najmniej trzy schematy leczenia, w tym lek immunomodulujący, inhibitor proteasomu i przeciwciała anty-CD38, i u których choroba nasiliła się od czasu ostatniego leczenia.

Abecma jest rodzajem leku do zaawansowanego leczenia, zwanym „terapią genową”. Ten rodzaj leku działa poprzez dostarczanie genów do organizmu.

Ze względu na to, że szpiczaka mnogiego uznano za chorobę rzadko występującą, w dniu 20 kwietnia 2017 r. lek Abecma uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach). Więcej informacji na temat przyznania statusu leku sierocemu można znaleźć tutaj:

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

Substancją czynną zawartą w leku Abecma jest idekabtagen wikleucel.

Jak stosować lek Abecma

Lek Abecma przygotowuje się z własnych krwinek białych pacjenta, które są ekstrahowane z krwi i modyfikowane genetycznie w laboratorium. Lek Abecma można podawać wyłącznie pacjentom, których komórki wykorzystano do produkcji leku.

Lek podaje się w postaci pojedynczego wlewu dożylnego (kroplówki). Przed podaniem leku Abecma pacjent powinien otrzymać krótki cykl chemioterapii w celu usunięcia istniejących białych krwinek. Bezpośrednio przed wlewem pacjentom podaje się paracetamol i lek przeciwhistaminowy w celu zmniejszenia ryzyka reakcji na wlew.

Konieczna jest dostępność leku o nazwie tocilizumab i sprzętu ratunkowego na wypadek wystąpienia u pacjenta potencjalnie ciężkiego działania niepożądanego zwanego zespołem uwalniania cytokin (patrz poniższy punkt dotyczący zagrożeń).

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



Przez 10 dni po podaniu leku, pacjentów należy poddawać uważnej obserwacji pod kątem działań niepożądanych i zaleca się im pozostawanie w bliskiej odległości od szpitala specjalistycznego przez co najmniej 4 tygodnie po leczeniu.

Więcej informacji o sposobie stosowania leku Abecma znajduje się w ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.

Jak działa lek Abecma

Abecma zawiera własne limfocyty T pacjenta (rodzaj krwinek białych), które zostały zmodyfikowane genetycznie w laboratorium, aby wytwarzały białko o nazwie chimeryczny receptor antygenowy (CAR). CAR przyłącza się na powierzchni komórek nowotworowych do białka zwanego antygenem dojrzewania komórek B (ang. B-cell maturation antigen, BCMA).

Po podaniu leku Abecma pacjentowi zmodyfikowane limfocyty T przyłączają się do BCMA, a następnie zabijają komórki nowotworowe, pomagając w ten sposób usuwać nowotwór z organizmu.

Korzyści ze stosowania leku Abecma wykazane w badaniach

W badaniu głównym z udziałem 140 pacjentów ze szpiczakiem mnogim, który nie reagował na wcześniejsze leczenie (szpiczak oporny na leczenie) i u których nastąpił nawrót (szpiczak nawrotowy), wykazano, że lek Abecma jest skuteczny w usuwaniu nowotworu. Ogółem u 30% pacjentów wystąpiła pełna odpowiedź (co oznacza, że nie występowały u nich oznaki nowotworu), a u 67% co najmniej częściowa odpowiedź po zastosowaniu leku Abecma.

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Abecma

Najczęstsze działania niepożądane (mogące wystąpić częściej niż u 1 na 10 pacjentów) to: neutropenia (mała liczba neutrofilów, rodzaju białych krwinek), zespół uwalniania cytokin (potencjalnie zagrażający życiu stan, który może powodować gorączkę, wymioty, duszność, ból i niskie ciśnienie krwi), niedokrwistość (mała liczba czerwonych krwinek), małopłytkowość (mała liczba płytek krwi), zakażenia, leukopenia (mała liczba białych krwinek), zmęczenie, biegunka, hipokaliemia (niskie stężenie potasu we krwi), hipofosfatemia (niskie stężenie fosforanów we krwi), nudności (mdłości), limfopenia (niskie stężenie wapnia we krwi), gorączka, kaszel, hipokalcemia (niskie stężenie wapnia we krwi), ból głowy, hipomagnezemia (niskie stężenie magnezu we krwi), zakażenie górnych dróg oddechowych (zakażenie nosa i gardła), ból stawów, obrzęk obwodowy (opuchlizna, zwłaszcza kostek i stóp), zmniejszony apetyt, hipogammaglobulinemia (niskie stężenie immunoglobulin we krwi) i neutropenia z gorączką (niski poziom neutrofilów z gorączką).

Najczęstsze poważne działania niepożądane to zespół uwalniania cytokin (17%), zapalenie płuc (7%), gorączka neutropeniczna (6%) i gorączka (6%).

Leku Abecma nie wolno podawać osobom, u których nie można stosować chemioterapii w celu usunięcia istniejących krwinek białych (zgodnie z treścią ulotki dla pacjenta odpowiedniej chemioterapii).

Pełny wykaz działań niepożądanych oraz ograniczeń związanych ze stosowaniem leku Abecma znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Abecma w UE

U pacjentów ze szpiczakiem mnogim, u których wystąpił nawrót nowotworu i u których nie wystąpiła odpowiedź na leczenie, lek Abecma powodował klinicznie znaczącą odpowiedź na leczenie. Mogą

wystąpić poważne działania niepożądane, w szczególności zespół uwalniania cytokin. Są one jednak możliwe do opanowania w przypadku dostępności odpowiednich środków (patrz poniżej). Europejska Agencja Leków (EMA) uznała, że korzyści płynące ze stosowania leku Abecma przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE.

Lek Abecma uzyskał warunkowe dopuszczenie do obrotu. Oznacza to, że będą gromadzone dodatkowe informacje na temat tego leku, które firma ma obowiązek dostarczyć. Co roku Agencja dokona przeglądu wszelkich nowych informacji i w razie potrzeby uaktualni niniejsze ogólne informacje.

Jakich informacji jeszcze brakuje na temat leku Abecma

W związku z tym, że lek Abecma uzyskał warunkowe dopuszczenie do obrotu, firma wprowadzająca lek Abecma do obrotu dostarczy dane z 24-miesięcznej obserwacji pacjentów z badania głównego. Ponadto firma przeprowadzi badanie mające na celu porównanie leku Abecma ze standardową chemioterapią u osób z nawrotowym i opornym na leczenie szpiczakiem mnogim.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Abecma

Firma wprowadzająca lek Abecma do obrotu musi:

- zapewnić, aby szpitale, w których podawany jest lek, posiadały odpowiednią wiedzę specjalistyczną, wyposażenie i przeszkolenie. W razie wystąpienia zespołu uwalniania cytokin konieczna jest dostępność tocilizumabu;
- dostarczać materiały edukacyjne dla personelu medycznego i pacjentów dotyczące możliwych działań niepożądanych, zwłaszcza zespołu uwalniania cytokin.

Firma musi także przeprowadzić badanie, aby uzyskać więcej informacji na temat długoterminowego bezpieczeństwa leku Abecma.

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Abecma w Charakterystyce Produktu Leczniczego i Ulotce dla pacjenta zawarto również zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane o stosowaniu leku Abecma są stale monitorowane. Zgłaszane działania niepożądane leku Abecma są starannie oceniane i podejmowane są wszystkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje dotyczące leku Abecma

Więcej informacji na temat leku Abecma można znaleźć na stronie internetowej Agencji: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/abecma