



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Abecma (*idekabtagén-vikleucel*)

Prehľad o lieku Abecma a prečo bol povolený v EÚ

Čo je liek Abecma a na čo sa používa?

Abecma je liek, ktorý sa používa na liečbu dospelých s mnohopočetným myelómom (rakovinou kostnej drene), keď sa rakovina vrátila (relapsovala) a neodpovedala na liečbu (refraktérna). Používa sa u dospelých, ktorí absolvovali aspoň tri predchádzajúce liečby vrátane imunomodulačného lieku, proteazómového inhibítora a protilátok proti CD38 a ktorých ochorenie sa od poslednej liečby zhoršilo.

Liek Abecma je druh lieku na inovatívnu liečbu a označuje sa ako tzv. liek na génovú terapiu. Ide o druh lieku, ktorý účinkuje tak, že telu dodáva gény.

Mnohopočetný myelóm je zriedkavé ochorenie, a preto bol liek Abecma 20. apríla 2017 označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia. Ďalšie informácie o označení lieku za liek na ojedinelé ochorenia môžete nájsť tu: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu3171863>

Liek Abecma obsahuje liečivo idekabtagén-vikleucel.

Ako sa liek Abecma používa?

Liek Abecma sa pripravuje s použitím vlastných bielych krviniek pacienta, ktoré sú extrahované z krvi a geneticky modifikované v laboratóriu. Liek Abecma sa môže podávať len tým pacientom, ktorých bunky sa použili na jeho výrobu.

Liek sa podáva formou jednej infúzie (na kvapkanie) do žily. Pred podaním lieku Abecma má pacient dostať krátky cyklus chemoterapie na odstránenie existujúcich bielych krviniek. Tesne pred infúziou sa pacientom podáva paracetamol a antihistaminikum na zníženie rizika reakcií na infúziu.

Pre prípad, že sa u pacienta vyskytne potenciálne závažný vedľajší účinok nazývaný syndróm uvoľnenia cytokínov (pozri časť týkajúcu sa rizík uvedenú ďalej), musí byť k dispozícii liek nazývaný tocilizumab, ako aj núdzové vybavenie.

Pacienti majú byť starostlivo sledovaní desať dní po liečbe z hľadiska vedľajších účinkov a odporúča sa, aby ostali v blízkosti špecializovanej nemocnice aspoň štyri týždne po liečbe.

Viac informácií o používaní lieku Abecma si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárničku.

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



Akým spôsobom liek Abecma účinkuje?

Liek Abecma obsahuje vlastné T-bunky (druh bielych krviniek) pacienta, ktoré boli v laboratóriu geneticky upravené tak, aby vytvárali proteín nazývaný chimérický antigénový receptor (CAR). CAR sa môže na povrchu rakovinových buniek naviazať na proteín nazývaný antigén zrenia B-buniek (BCMA).

Keď sa liek Abecma podá pacientovi, upravené T-bunky sa naviažu na BCMA a potom usmrtnia rakovinové bunky, čo pomôže odstrániť rakovinu z tela.

Aké prínosy lieku Abecma boli preukázané v štúdiách?

V hlavnej štúdii so 140 pacientmi s mnohopočetným myelómom, ktorý neodpovedal na predchádzajúcu liečbu (refraktérny myelóm) a vrátil sa (relapsujúci myelóm), sa preukázalo, že liek Abecma je účinný pri odstránení rakoviny. Celkovo u 30 % pacientov sa dosiahla úplná odpoveď (to znamená, že nemali žiadne prejavy zvyšnej rakoviny) a u 67 % pacientov sa dosiahla aspoň čiastočná odpoveď po liečbe liekom Abecma.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Abecma?

Najčastejšie vedľajšie účinky (ktoré môžu postihnúť viac ako 1 osobu z 10) sú neutropénia (nízka hladina neutrofilov, typu bielych krviniek), syndróm uvoľnenia cytokínov (potenciálne život ohrozujúci stav, ktorý môže spôsobiť horúčku, vracanie, dýchavičnosť, bolesť a nízky krvný tlak), anémia (nízky počet červených krviniek), trombocytopenia (nízky počet krvných doštičiek), infekcie, leukopénia (nízky počet bielych krviniek), únava, hnačka, hypokaliémia (nízka hladina draslíka v krvi), hypofosfatémia (nízka hladina fosfátov v krvi), nauzea (pocit nevoľnosti), lymfopénia (nízka hladina lymfocytov), horúčka, kašeľ, hypokalciémia (nízka hladina vápnika v krvi), bolesť hlavy, hypomagnezémia (nízka hladina horčíka v krvi), infekcia horných dýchacích ciest (infekcia nosa a hrdla), bolesť kĺbov, periférny edém (opuch, najmä členkov a chodidiel), znížená chuť do jedla, hypogamaglobulinémia (nízka hladina imunoglobulínov) a febrilná neutropénia (nízka hladina neutrofilov v krvi s horúčkou).

K najčastejším závažným vedľajším účinkom patrí syndróm uvoľnenia cytokínov (17 %), pneumónia (7 %), febrilná neutropénia (6 %) a horúčka (6 %).

Osobám, ktoré nemôžu podstúpiť chemoterapiu na odstránenie existujúcich bielych krviniek (podľa písomnej informácie pre používateľa pre príslušnú chemoterapiu), sa liek Abecma nesmie podať.

Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Abecma a zoznam všetkých obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Prečo bol liek Abecma povolený v EÚ?

Liek Abecma viedol ku klinicky významnej miere odpovede u pacientov s mnohopočetným myelómom, keď rakovina relapsovala a neodpovedala na liečbu. Môžu sa vyskytnúť závažné vedľajšie účinky, najmä syndróm uvoľnenia cytokínov, tieto vedľajšie účinky sú však zvládnuteľné, ak sa zavedú príslušné opatrenia (pozri ďalej). Európska agentúra pre lieky rozhodla, že prínosy lieku Abecma sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním a že liek môže byť povolený na používanie v EÚ.

Liek Abecma bol povolený s tzv. podmienkou. To znamená, že sa čaká na ďalšie dôkazy o lieku, ktoré musí spoločnosť predložiť. Agentúra každý rok prehodnocuje všetky nové dostupné informácie a podľa potreby aktualizuje tento súhrn.

Aké informácie o lieku Abecma dosiaľ neboli predložené?

Keďže liek Abecma bol povolený s podmienkou, spoločnosť, ktorá liek Abecma uvádza na trh, predloží údaje o sledovaní pacientov z hlavnej štúdie počas 24 mesiacov. Spoločnosť okrem toho uskutoční štúdiu na porovnanie lieku Abecma so štandardnou chemoterapiou u osôb s relapsujúcim a refraktérnym mnohopočetným myelómom.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Abecma?

Spoločnosť, ktorá liek Abecma uvádza na trh, musí:

- zabezpečiť, aby v nemocniciach, kde sa liek podáva, boli k dispozícii príslušné odborné znalosti, zariadenia a zaškolenie. V prípade výskytu syndrómu uvoľnenia cytokínov musí byť k dispozícii tocilizumab.
- poskytnúť vzdelávacie materiály pre zdravotníckych pracovníkov a pacientov o možných vedľajších účinkoch, najmä o syndróme uvoľnenia cytokínov.

Spoločnosť musí takisto uskutočniť štúdiu na získanie ďalších informácií o dlhodobej bezpečnosti lieku Abecma.

Na bezpečné a účinné používanie lieku Abecma boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté aj odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o používaní lieku Abecma sa neustále kontrolujú. Vedľajšie účinky hlásené pri lieku Abecma sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

Ďalšie informácie o lieku Abecma

Ďalšie informácie o lieku Abecma sa nachádzajú na webovej stránke agentúry:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/abecma