



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Abecma (*idekabtagen vicleucel*)

Pregled zdravila Abecma in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Abecma in za kaj se uporablja?

Abecma je zdravilo, ki se uporablja za zdravljenje odraslih z diseminiranim plazmocitomom (rakom kostnega mozga), pri katerih se je rak ponovil (je recidiven) ali se ni odzval na zdravljenje (je neodziven). Uporablja se pri odraslih, ki so predhodno prejeli vsaj tri terapije, vključno z imunomodulatornim zdravilom, zaviralcem proteasoma in protitelesi proti CD38, pri katerih se je bolezen od zadnjega zdravljenja poslabšala.

Zdravilo Abecma spada v skupino zdravil za napredno zdravljenje, ki se imenujejo „gensko zdravljenje“. Gre za skupino zdravil, ki delujejo tako, da prenesejo gene v telo.

Diseminirani plazmocitom je redka bolezen, zato je bilo zdravilo Abecma 20. aprila 2017 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni). Nadaljnje informacije glede določitve zdravila sirote lahko najdete tukaj: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu3171863>

Zdravilo Abecma vsebuje učinkovino idekabtagen vicleucel.

Kako se zdravilo Abecma uporablja?

Zdravilo Abecma se pripravi s pomočjo bolnikovih lastnih belih krvnih celic, ki se pridobijo iz krvi in v laboratoriju gensko spremenijo. Zdravilo Abecma se lahko daje le bolniku, katerega celice so bile uporabljene za izdelavo zdravila.

Daje se z enkratnim infundiranjem (kapalno infuzijo) v veno. Pred zdravljenjem z zdravilom Abecma je treba bolnika kratkotrajno zdraviti s kemoterapijo, da se odstranijo obstoječe bele krvne celice. Tik pred infuzijo bolniki prejmejo paracetamol in antihistaminik za zmanjšanje tveganja reakcije na infuzijo.

Na voljo morata biti zdravilo tocilizumab in oprema za nujno medicinsko pomoč za primer, da bi se pri bolniku pojavil resen neželeni učinek, imenovan sindrom sproščanja citokinov (glejte poglavje o tveganjih v nadaljevanju).

Bolnike je treba deset dni po zdravljenju skrbno spremljati glede pojava neželenih učinkov in jim priporočiti, da ostanejo blizu specialistične bolnišnice še vsaj štiri tedne po zdravljenju.

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



Za več informacij glede uporabe zdravila Abecma glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Kako zdravilo Abecma deluje?

Zdravilo Abecma vsebuje bolnikove lastne celice T (vrsto belih krvnih celic), ki so bile v laboratoriju gensko spremenjene tako, da tvorijo beljakovino, imenovano himerni antigenski receptor. Ta se lahko na površini rakavih celic veže na beljakovino, imenovano B-celični maturacijski antigen (BCMA).

Po dajanju zdravila Abecma bolniku se spremenjene celice T pritrdijo na B-celični maturacijski antigen in nato uničijo rakave celice, s tem pa pripomorejo k odstranjevanju raka iz telesa.

Kakšne koristi zdravila Abecma so se pokazale v študijah?

Glavna študija s 140 bolniki z diseminiranim plazmocitomom, ki se ni odzval na predhodno zdravljenje (neodzivni mielom) ali se je ponovil (recidivni mielom), je pokazala, da zdravilo Abecma učinkovito odstrani raka. Celokupno je 30 % bolnikov doseglo popoln odziv (kar pomeni, da niso več imeli znakov raka), 67 % pa vsaj delni odziv po zdravljenju z zdravilom Abecma.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Abecma?

Najpogostejši neželeni učinki (ki se lahko pojavijo pri več kot 1 bolniku od 10) so nevtropenija (nizka raven nevtrofilcev, vrste belih krvnih celic), sindrom sproščanja citokinov (potencialno življenjsko nevarno stanje, ki lahko povzroči zvišano telesno temperaturo, bruhanje, kratko sapo, bolečino in nizek krvni tlak), anemija (nizko število rdečih krvnih celic), trombocitopenija (nizko število trombocitov), okužbe, levkopenija (nizko število belih krvnih celic), utrujenost, driska, hipokaliemija (nizka raven kalija v krvi), hipofosfatemija (nizka raven fosfatov v krvi), navzeja (siljenje na bruhanje), limfopenija (nizka raven kalcija v krvi), glavobol, hipomagneziemija (nizka raven magnezija v krvi), okužba zgornjih dihal (okužba nosu in grla), bolečine v sklepih, periferni edem (otekanje, zlasti gležnjevi in stopali), zmanjšan tek, hipogamaglobulinemija (nizko število imunoglobulinov) in febrilna nevtropenija (nizko število nevtrofilcev in povišana telesna temperatura).

Najpogostejši resni neželeni učinki so sindrom sproščanja citokinov (17 %), pljučnica (7 %), febrilna nevtropenija (6 %) in povišana telesna temperatura (6 %).

Osebe, ki ne morejo prejeti kemoterapije za odstranitev obstoječih belih krvnih celic (kot je navedeno v navodilu za uporabo zadevne kemoterapije), zdravila Abecma ne smejo prejeti.

Za celoten seznam neželenih učinkov in omejitev pri uporabi zdravila Abecma glejte navodilo za uporabo.

Zakaj je bilo zdravilo Abecma odobreno v EU?

Zdravilo Abecma je povzročilo klinično pomembne stopnje odziva pri bolnikih z diseminiranim plazmocitomom, pri katerih se je rak ponovil in ki se niso odzvali na zdravljenje. Lahko se pojavijo resni neželeni učinki, zlasti sindrom sproščanja citokinov, vendar so ob ustreznih ukrepih (glejte v nadaljevanju) obvladljivi. Evropska agencija za zdravila je zaključila, da so koristi zdravila Abecma večje od z njim povezanih tveganj in da se lahko odobri za uporabo v EU.

Zdravilo Abecma je pridobilo „pogojno dovoljenje za promet“. To pomeni, da se pričakujejo dodatni dokazi o zdravilu, ki jih mora zagotoviti podjetje. Agencija bo vsako leto ponovno pregledala vse nove podatke, ki bodo na voljo, in po potrebi posodobila ta povzetek.

Katere informacije o zdravilu Abecma še pričakujemo?

Ker je zdravilo Abecma pridobilo pogojno dovoljenje za promet, bo podjetje, ki ga trži, zagotovilo podatke o 24-mesečnem spremljanju bolnikov iz glavne študije. Poleg tega bo podjetje izvedlo študijo za primerjavo zdravila Abecma s standardno kemoterapijo pri ljudeh z recidivnim in neodzivnim diseminiranim plazmocitomom.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Abecma?

Podjetje, ki trži zdravilo Abecma, mora:

- zagotoviti, da imajo bolnišnice, v katerih se zdravilo daje, ustrezno strokovno znanje, zmogljivosti in usposabljanje. Za primer sindroma sproščanja citokinov mora biti na voljo tocilizumab;
- zagotoviti izobraževalno gradivo za zdravstvene delavce in bolnike o možnih neželenih učinkih, zlasti o sindromu sproščanja citokinov.

Podjetje mora tudi izvesti študijo za pridobitev več informacij o dolgoročni varnosti zdravila Abecma.

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Abecma upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni tudi v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Abecma stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Abecma, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

Druge informacije o zdravilu Abecma

Nadaljnje informacije o zdravilu Abecma so na voljo na spletni strani agencije: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/abecma.