



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/H/C/004090

## Kymriah (*tisagenlecleucelum*)

Přehled pro přípravek Kymriah a proč byl přípravek registrován v EU

### Co je přípravek Kymriah a k čemu se používá?

Kymriah je léčivý přípravek k léčbě těchto typů nádorových onemocnění krve:

- B-lymfocytární akutní lymfoblastické leukemie u dětí a mladých dospělých do 25 let věku, u nichž nádorové onemocnění nereagovalo na předchozí léčbu, dvakrát nebo vícekrát se vrátilo nebo se vrátilo po transplantaci kmenových buněk,
- difuzního velkobuněčného B-lymfomu a folikulárního lymfomu u dospělých, u nichž se nádorové onemocnění vrátilo nebo nereagovalo po dvou nebo více předchozích léčbách.

Přípravek Kymriah je druh léčivého přípravku pro moderní terapie označovaný jako „přípravek pro genovou terapii“. Jedná se o druh léčivého přípravku, který působí tak, že do těla dodává geny.

Nádorová onemocnění krve, k jejichž léčbě se přípravek Kymriah používá, jsou vzácná onemocnění a přípravek Kymriah byl dne [29. dubna 2014](#) označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“ k léčbě B-lymfocytární akutní lymfoblastickou leukemie, dne [14. října 2016](#) k léčbě difuzního velkobuněčného B-lymfomu a dne [19. července 2021](#) k léčbě folikulárního lymfomu.

Přípravek Kymriah obsahuje léčivou látku tisagenlecleucel (sestavující z geneticky modifikovaných bílých krvinek).

### Jak se přípravek Kymriah používá?

Přípravek Kymriah se připravuje z bílých krvinek pacienta, které jsou extrahovány z krve a geneticky modifikovány v laboratoři.

Podává se ve formě jednorázové infuze (kapání) do žíly a musí být podán pouze pacientovi, jehož buňky byly použity při přípravě přípravku. Před podáním přípravku Kymriah by měl pacient podstoupit krátký cyklus chemoterapie, aby se zbavil svých bílých krvinek, a těsně před podáním infuze dostane paracetamol a antihistaminikum, aby se zmírnilo riziko výskytu reakcí na infuzi.

Pro případ, že se u pacienta vyskytne potenciálně závažný nežádoucí účinek zvaný syndrom z uvolnění cytokinů, což je potenciálně život ohrožující stav, který může způsobit horečku, zvracení, dušnost,

---

**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



bolest a nízký krevní tlak (viz bod o rizicích níže), musí být k dispozici léčivo zvané tocilizumab a vybavení pro léčbu naléhavých situací.

S ohledem na nežádoucí účinky by pacienti měli být po dobu 10 dní po léčbě pečlivě sledováni a doporučuje se, aby se po dobu nejméně 4 týdnů po léčbě zdržovali v blízkosti specializované nemocnice.

Více informací o používání přípravku Kymriah naleznete v příbalové informaci nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

## **Jak přípravek Kymriah působí?**

Přípravek Kymriah obsahuje T-lymfocyty pacienta (typ bílých krvinek), které byly geneticky modifikovány v laboratoři tak, aby vytvářely bílkovinu zvanou chimérický antigenní receptor. Chimérický antigenní receptor se váže na další bílkovinu na povrchu nádorových buněk zvanou CD19.

Při podání přípravku Kymriah pacientovi se modifikované T-lymfocyty naváží na nádorové buňky a hubí je, čímž pomáhají odstranit nádorové onemocnění v těle.

## **Jaké přínosy přípravku Kymriah byly prokázány v průběhu studií?**

### **B-lymfocytární akutní lymfoblastická leukemie**

Do hlavní studie přípravku Kymriah u B-lymfocytární akutní lymfoblastické leukemie bylo zařazeno 92 dětí a mladých dospělých (ve věku 3–25 let), u nichž se nádorové onemocnění vrátilo po předchozí léčbě nebo nereagovalo na léčbu. Přibližně 66 % pacientů vykazovalo tři měsíce po léčbě úplnou odpověď (což znamená, že neměli žádné známky nádorového onemocnění). Tyto výsledky byly lepší než výsledky zaznamenané u protinádorových léčiv klofarabin, blinatumomab nebo u kombinace klofarabinu, cyklofosfamidu a etoposidu. Dvanáct měsíců po léčbě byla pravděpodobnost přežití 70%.

### **Difuzní velkobuněčný B-lymfom**

Do hlavní studie přípravku Kymriah u difuzního velkobuněčného B-lymfomu bylo zařazeno 165 pacientů, kteří podstoupili nejméně 2 předchozí léčby a u nichž nemohla být provedena transplantace kmenových buněk. Po nejméně 3 měsících léčby vykazovalo úplnou odpověď na léčbu přibližně 24 % pacientů a alespoň částečnou odpověď 34 % pacientů. Tyto výsledky byly srovnatelné s výsledky ze studií u pacientů, kteří podstoupili standardní léčbu nádorového onemocnění. Dvanáct měsíců po léčbě byla pravděpodobnost přežití 40 %. U většiny pacientů, kteří reagovali na léčbu přípravkem Kymriah, odpověď na léčbu přetrvávala i po 19 měsících.

### **Folikulární lymfom**

Do hlavní studie přípravku Kymriah u folikulárního lymfomu bylo zařazeno 98 pacientů, u nichž se nádorové onemocnění vrátilo po předchozí léčbě nebo nereagovalo na léčbu. Pacienti již podstoupili nejméně 2 předchozí léčby. Přibližně 69 % pacientů vykazovalo tři měsíce po léčbě úplnou odpověď.

## **Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Kymriah?**

Závažné nežádoucí účinky se vyskytují u většiny pacientů. Nejčastějšími závažnými nežádoucími účinky jsou syndrom z uvolnění cytokinů a snížení počtu krevních destiček (složky krve, které napomáhají jejímu srážení), hemoglobinu (bílkoviny, která se nachází v červených krvinkách a přenáší v těle kyslík) nebo bílých krvinek včetně neutrofilů a lymfocytů.

Velmi častými nežádoucími účinky u pacientů s difuzním velkobuněčným B-lymfomem a folikulárním lymfomem jsou dále závažné infekce.

Úplný seznam nežádoucích účinků a omezení přípravku Kymriah je uveden v příbalové informaci.

## **Na základě čeho byl přípravek Kymriah registrován v EU?**

Pacienti s B-lymfocytární akutní lymfoblastickou leukémií mají špatné výsledky a zlepšení při podávání přípravku Kymriah bylo významnější než u jiných léčiv používaných k léčbě tohoto onemocnění. U pacientů s difuzním velkobuněčným B-lymfomem léčených přípravkem Kymriah byly výsledky podobné s výsledky jiných typů léčby, ale údaje z probíhající studie naznačují, že účinky přetrvávají déle. Dále bylo prokázáno, že přípravek Kymriah vyvolává silnou odpověď u pacientů s folikulárním lymfomem. Závažné nežádoucí účinky se vyskytují u většiny pacientů a mohou zahrnovat syndrom z uvolnění cytokinů. Pokud jsou však zavedena vhodná opatření, jsou tyto nežádoucí účinky zvladatelné (viz níže). Evropská agentura pro léčivé přípravky proto rozhodla, že přínosy přípravku Kymriah převyšují jeho rizika, a může tak být registrován k použití v EU.

## **Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Kymriah?**

Společnost, která přípravek Kymriah dodává na trh, musí zajistit, aby nemocnice, ve kterých je přípravek Kymriah podáván, měly odpovídající odborné znalosti a vybavení a zajistily příslušné školení. V případě výskytu syndromu z uvolnění cytokinů musí být dostupný tocilizumab. Společnost musí poskytnout zdravotnickým pracovníkům a pacientům edukační materiály o možných nežádoucích účincích, zejména o syndromu z uvolnění cytokinů.

Společnost musí provést několik studií s cílem získat více informací o přípravku Kymriah, včetně jeho bezpečnosti a účinnosti z dlouhodobého hlediska, a musí provést studii u pacientů s B-lymfocytární akutní lymfoblastickou leukémií ve věku do 3 let.

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla rovněž zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Kymriah, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Jako u všech léčivých přípravků jsou údaje o používání přípravku Kymriah průběžně sledovány. Nežádoucí účinky nahlášené v souvislosti s přípravkem Kymriah jsou pečlivě hodnoceny a jsou učiněna veškerá nezbytná opatření, aby bylo chráněno zdraví pacientů.

## **Další informace o přípravku Kymriah**

Přípravku Kymriah bylo uděleno rozhodnutí o registraci platné v celé EU dne 23. srpna 2018.

Další informace o přípravku Kymriah jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](https://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).

Tento přehled byl naposledy aktualizován v 04-2022.