



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/H/C/004090

Kymriah (*tisagenlecleuseeli*)

Yleistiedot Kymriah-valmisteesta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Kymriah on ja mihin sitä käytetään?

Kymriah on lääke, jota käytetään seuraavien verisyöpätyyppien hoitoon:

- B-solulinjan akuutti lymfoblastinen leukemia (ALL) lapsilla ja korkeintaan 25-vuotiailla nuorilla aikuisilla, joiden syöpä ei ole reagoinut aiempaan hoitoon, on uusiutunut kaksi kertaa tai useammin tai on uusiutunut kantasolusiirron jälkeen
- diffuusi suurisoluinen B-solulymfooma (DLBCL) ja follikulaarinen lymfooma (FL) aikuisilla, joiden syöpä on uusiutunut tai ei ole reagoinut kahteen tai useampaan aiempaan hoitoon.

Kymriah on pitkälle kehittyneissä hoidoissa käytettävä ns. geeniterapiavalmiste. Tällaiset lääkkeet vaikuttavat kuljettamalla geneejiä elimistöön.

Verisyövät, joiden hoitoon Kymriah-valmistetta käytetään, ovat harvinaisia; Kymriah nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) B-solulinjan ALL:n osalta [29. huhtikuuta 2014](#), DLBCL:n osalta [14. lokakuuta 2016](#) ja FL:n osalta [19. heinäkuuta 2021](#).

Kymriah-valmisteen vaikuttava aine on tisagenlecleuseeli (muodostuu geenimuokatuista veren valkosoluista).

Miten Kymriah-valmistetta käytetään?

Kymriah valmistetaan potilaan omista valkosoluista, jotka on eristetty potilaan verestä ja geenimuokattu laboratoriossa.

Se annetaan yhtenä infuusiona (tiputuksena) laskimoon, ja sen saa antaa vain potilaalle, jonka soluja on käytetty sen valmistamiseen. Ennen Kymriah-valmisteen antamista potilaalle annetaan lyhyt solunsalpaajahoitojakso olemassa olevien valkosolujen hävittämiseksi ja juuri ennen infuusiota parasetamolia ja antihistamiinia, joilla pienennetään infuusioreaktioiden riskiä.

Saatavilla on myös oltava tosilitsumabia sekä ensiapuvälineet sen varalta, että potilaalla ilmenee sytokiinioireyhtymä. Se voi olla vakava ja hengenvaarallinen haittavaikutus, jonka oireita voivat olla kuume oksentelu, hengenahdistus, kipu ja alhainen verenpaine (ks. kuvaus jäljempänä riskejä käsittelevässä kohdassa).

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



Potilaita on seurattava tarkasti haittavaikutusten varalta 10 vuorokauden ajan hoidon jälkeen, ja heitä on ohjeistettava pysymään erikoissairaalan läheisyydessä ainakin neljän viikon ajan hoidon jälkeen.

Lisätietoja Kymriah-valmisteen käytöstä saa pakkauselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Miten Kymriah vaikuttaa?

Kymriah sisältää potilaan omia T-soluja (tiettyjä veren valkosoluja), joita on muokattu geneettisesti laboratoriossa siten, että ne muodostavat proteiinin nimeltä kimeerinen antigeenireseptori (CAR). CAR voi kiinnittyä syöpäsolujen pinnalla esiintyvään toiseen proteiiniin nimeltä CD19.

Kun Kymriah-valmistetta annetaan potilaalle, muokatut T-solut kiinnittyvät syöpäsoluihin ja tappavat ne, mikä auttaa hävittämään syövän elimistöstä.

Mitä hyötyä Kymriah-valmisteesta on havaittu tutkimuksissa?

B-solulinjan ALL

Kymriah-valmisteesta B-solulinjan ALL:n hoidossa tehtyyn päätutkimukseen osallistui 92 lasta ja nuorta (3–25-vuotiaita), joiden syöpä oli uusiutunut aiemman hoidon jälkeen tai joiden syöpä ei ollut reagoinut hoitoon. Noin 66 prosenttia potilaista saavutti täydellisen vasteen (mikä tarkoittaa, ettei syövästä ollut mitään merkkejä jäljellä) kolmen kuukauden kuluttua hoidosta. Nämä tulokset olivat parempia kuin mitä on havaittu syöpälääke klofarabiinilla, blinatumomabilla tai klofarabiinin, syklofosamidin ja etoposidin yhdistelmähoidolla. Elossaolon todennäköisyys 12 kuukautta hoidon jälkeen oli 70 prosenttia.

DLBCL

Kymriah-valmistetta DLBCL:n hoidossa koskeneeseen päätutkimukseen osallistui 165 potilasta, jotka olivat saaneet vähintään kaksi aiempaa hoitoa ja joille ei ollut voitu tehdä kantasolusiirtoa. Noin 24 prosenttia potilaista saavutti täydellisen vasteen ja 34 prosenttia vähintäänkin osittaisen vasteen vähintään kolmen kuukauden kuluessa. Nämä tulokset olivat vastaavia kuin mitä on saatu tutkimuksista, joissa potilaat ovat saaneet tavanomaisia syöpähoitoja. Elossaolon todennäköisyys 12 kuukauden kuluttua hoidon jälkeen oli 40 prosenttia. Suurimmalla osalla potilaista, jotka saivat hoitovasteen Kymriah-hoidolla, vaste oli edelleen olemassa 19 kuukauden kuluttua.

Folikulaarinen lymfooma

Folikulaarista lymfoomaa koskevaan päätutkimukseen osallistui 98 potilasta, joiden syöpä oli uusiutunut aiemman hoidon jälkeen tai hoito ei ollut tehonnut siihen. Potilaat olivat saaneet aiemmin vähintään kahta hoitoa. Noin 69 prosentilla potilaista hoitovaste oli täydellinen kolme kuukautta hoidon jälkeen.

Mitä riskejä Kymriah-valmisteseen liittyy?

Useimmilla potilailla esiintyy vakavia haittavaikutuksia. Yleisimmät vakavat haittavaikutukset ovat sytokiinioreyhtymä sekä verihyötymä (veren hyytymistä edistäviä komponentteja), hemoglobiinin (veren punasoluissa oleva proteiini, joka kuljettaa happea kehossa) tai valkosolujen, neutrofiilien ja lymfosyyttien määrän väheneminen.

Lisäksi vakavat infektiot ovat hyvin yleisiä haittavaikutuksia DLBCL- ja FL-potilaiden hoidossa.

Pakkauselosteesta on luettelo kaikista Kymriah-valmisteen haittavaikutuksista ja rajoituksista.

Miksi Kymriah on hyväksytty EU:ssa?

B-solulinjan ALL:ää sairastavilla potilailla on huonot hoitotulokset; Kymriah paransi näitä hoitotuloksia paremmin kuin muut tämän sairauden hoitoon tarkoitetut lääkkeet. Kymriah-hoitoa saaneiden DLBCL-potilaiden tulokset olivat samankaltaisia muiden hoitojen kanssa, mutta meneillään oleva tutkimus viittaa siihen, että sen vaikutukset kestävät pidempään. Kymriah-hoidon osoitettiin myös tuottavan vahvan vasteen follikulaarista lymfoomaa sairastavilla potilailla. Vakavia haittavaikutuksia esiintyy useimmilla potilailla, ja yksi haittavaikutuksista voi olla sytokiinioireyhtymä. Haittavaikutukset ovat kuitenkin hoidettavissa, jos käytössä on asianmukaiset toimenpiteet (ks. jäljempänä). Näin ollen Euroopan lääkevirasto katsoi, että Kymriah-valmisteen hyödyt ovat sen riskejä suuremmat ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Miten voidaan varmistaa Kymriah-valmisteen turvallinen ja tehokas käyttö?

Kymriah-valmistetta markkinoivan yhtiön on varmistettava, että Kymriah-valmistetta antavissa sairaaloissa on asianmukaista asiantuntemusta, tarvittavat valmiudet, ja koulutusta henkilökunnalle. Tosilitsumabia on oltava saatavilla sytokiinioireyhtymän varalta. Yhtiön on toimitettava perehdytysmateriaalia terveydenhuollon ammattilaisille ja potilaille mahdollisista haittavaikutuksista, erityisesti sytokiinioireyhtymästä.

Yhtiön on tehtävä useita tutkimuksia lisätietojen saamiseksi Kymriah-valmisteesta, etenkin tietoja sen turvallisuudesta ja tehosta pitkäaikaiskäytössä ja alle 3 vuoden ikäisten B-solulinjan ALL:ää sairastavien potilaiden hoidossa.

Suosituksukset ja varotoimet, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Kymriah-valmisteen käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät myös valmisteyhteenvedoon ja pakkausselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Kymriah-valmisteen käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Kymriah-valmisteesta ilmoitetut haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja suoritetaan kaikki tarvittavat toimet potilaiden suojelemiseksi.

Muita tietoja Kymriah-valmisteesta

Kymriah sai koko EU:n alueella voimassa olevan myyntiluvan 23. elokuuta 2018.

Lisää tietoa Kymriah-valmisteesta on saatavissa viraston verkkosivustolla osoitteessa: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](https://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports)

Tämä yhteenvedo on päivitetty viimeksi 04-2022.