



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/H/C/004090

Kymriah (*tisagenlecleucel*)

Kymriah apžvalga ir kodėl jis buvo registruotas Europos Sąjungoje (ES)

Kas yra Kymriah ir kam jis vartojamas?

Kymriah – tai vaistas, kuriuo gydomas šių rūšių kraujo vėžys:

- B ląstelių ūminė limfoblastinė leukemija (ŪLL), diagnozuota vaikams ir jaunesniems nei 25 metų amžiaus jaunuoliams, kurių vėžys nereagavo į anksčiau taikytą gydymą, atsinaujino du ar daugiau kartų arba atsinaujino po kamieninių ląstelių persodinimo;
- difuzinė didelių B ląstelių limfoma (DDBLL) ir folikulinė limfoma (FL), diagnozuota suaugusiesiems, kurių vėžys atsinaujino arba nereagavo į anksčiau taikytus du ar daugiau gydymų.

Kymriah yra pažangiosios terapijos vaistas, vadinamasis genų terapijos vaistas. Tai tokie vaistai, kurie perneša genų į organizmą.

Vėžiniai kraujo susirgimai, kuriems gydyti skirtas Kymriah, yra reti, todėl [2014 m. balandžio 29 d.](#) Kymriah buvo priskirtas „retųjų vaistų“ (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai pagal B ląstelių ŪLL indikaciją, [2016 m. spalio 14 d.](#) – pagal DDBLL indikaciją ir [2021 m. liepos 19 d. – pagal FL indikaciją.](#)

Kymriah sudėtyje yra veikliosios medžiagos tisagenlecleucelo (kuri susideda iš genetiškai modifikuotų baltųjų kraujo ląstelių).

Kaip vartoti Kymriah?

Kymriah ruošiamas naudojant paties paciento baltąsias kraujo ląsteles, kurios išskiriamos iš kraujo ir genetiškai modifikuojamos laboratorijoje.

Vaistas vartojamas atliekant vienkartinę infuziją (sulašinant) į veną. Jį galima skirti tik tam pacientui, iš kurio ląstelių jis yra paruoštas. Prieš Kymriah infuziją pacientui atliekamas trumpas chemoterapijos kursas jo baltosioms kraujo ląstelėms išnaikinti, o prieš pat infuziją pacientui duodama paracetamolio ir antihistamininio vaisto reakcijų į infuziją rizikai sumažinti.

Kai pacientui atliekama infuzija, turi būti paruoštas vaistas tocilizumabas (arba, jei yra jo trūkumas, kitas atitinkamas vaistas) ir skubios pagalbos priemonės, kurias būtų galima panaudoti, jeigu

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



pasireikštų galimai sunkus šalutinis poveikis, vadinamas citokinų išsiskyrimo sindromu (apie riziką skaitykite toliau).

Dešimt dienų po infuzijos reikia atidžiai stebėti, ar pacientui nepasireiškia šalutinis poveikis. Pacientas turėtų bent 4 savaites po gydymo neišvykti toli nuo specializuotos ligoninės.

Daugiau informacijos apie Kymriah vartojimą ieškokite pakuotės lapelyje arba kreipkitės į gydytoją arba vaistininką.

Kaip veikia Kymriah?

Kymriah sudėtyje yra juo gydomo paciento T ląstelių (tam tikros rūšies baltųjų kraujo ląstelių), kurios genetiškai modifikuojamos laboratorijoje, kad galėtų gaminti baltymą, vadinamą chimeriniu antigenu receptoriais (CAR). CAR jungiasi prie kito, vėžinių ląstelių paviršiuje esančio baltymo, vadinamo CD19.

Pacientui suleidus Kymriah, modifikuotos T ląstelės prisijungia prie vėžinių ląstelių ir jas sunaikina, taip padėdamos iš paciento organizmo pašalinti vėžines ląsteles.

Kokia Kymriah nauda nustatyta tyrimų metu?

B ląstelių ŪLL

Pagrindiniame Kymriah poveikio gydant B ląstelių ŪLL tyrime dalyvavo 92 vaikai ir jaunuoliai (3–25 metų amžiaus), kurių vėžys atsinaujino po anksčiau taikyto gydymo arba nereagavo į gydymą. Praėjus 3 mėnesiams nuo gydymo, visiškai atsakas į gydymą nustatytas (t. y. vėžio požymių nebeliko) maždaug 66 proc. pacientų. Gydymo šiuo vaistu rezultatai buvo geresni, nei taikant gydymą vaistais nuo vėžio klofarabinu, blinatumomabu arba klofarabino, ciklofosfamido ir etopozido deriniu. Praėjus 12 mėnesių nuo gydymo, išgyvenimo tikimybė buvo 70 proc.

DDBLL

Pagrindiniame Kymriah poveikio gydant DDBLL tyrime dalyvavo 165 pacientai, kuriems anksčiau taikyti bent 2 gydymai ir kuriems nebuvo galima persodinti kamieninių ląstelių. Praėjus ne mažiau kaip 3 mėnesiams, maždaug 24 proc. pacientų nustatytas visiškai atsakas, o 34 proc. – dalinis atsakas į gydymą. Šie rezultatai buvo panašūs į nustatytus atlikus tyrimus, kurių metu pacientai buvo gydomi standartiniais vaistais nuo vėžio. Praėjus 12 mėnesių nuo gydymo, išgyvenimo tikimybė buvo 40 proc. Praėjus 19 mėnesių, gydymo poveikis išliko daugumai pacientų, kuriems pasireiškė atsakas į gydymą Kymriah.

FL

Pagrindiniame FL tyrime dalyvavo 98 pacientai, kuriems vėžys po ankstesnio gydymo atsinaujino arba atsako į gydymą nebuvo. Pacientams buvo taikyti bent 2 gydymo kursai. Praėjus 3 mėnesiams nuo gydymo visiškai atsakas į gydymą pasireiškė maždaug 69 proc. pacientų.

Kokia rizika susijusi su Kymriah vartojimu?

Sunkus šalutinis poveikis pasireiškia daugumai pacientų. Dažniausias sunkus šalutinis poveikis yra citokinų atpalaidavimo sindromas ir sumažėjęs trombocitų (komponentų, kurie padeda kraujui krešėti), hemoglobino (raudonosiose kraujo ląstelėse esančio baltymo, kuris išnešioja deguonį po organizmą) arba baltųjų kraujo ląstelių, įskaitant neutrofilus ir limfocitus, kiekis.

Be to, sunkios infekcijos yra labai dažnas šalutinis poveikis nuo DDBLL ir FL gydomiems pacientams.

Išsamų visų šalutinio poveikio reiškinių ir apribojimų vartojant Kymriah sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Kodėl Kymriah buvo registruotas ES?

B ląstelių ŪLL sergančių pacientų gydymo rezultatai yra prasti, o gydant Kymriah, jų būklė pagerėjo labiau, nei vartojant kitus vaistus nuo šios ligos. DDBLL sergančių pacientų gydymo Kymriah rezultatai buvo panašūs į gydymo kitais vaistais, bet iš šiuo metu atliekamo tyrimo duomenų matyti, kad gydymo Kymriah poveikis išlieka ilgiau. Taip pat nustatyta, kad Kymriah sukelia stiprų atsaką FL sergantiems pacientams. Daugumai pacientų pasireiškia sunkus šalutinis poveikis, tai gali būti ir citokinų atpalaidavimo sindromas. Tačiau, turint reikiamas priemones (žr. toliau), tokį šalutinį poveikį galima kontroliuoti. Todėl Europos vaistų agentūra nusprendė, kad Kymriah nauda yra didesnė už jo keliamą riziką, ir jis gali būti registruotas vartoti ES.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Kymriah vartojimą?

Kymriah rinkai tiekianti bendrovė privalo užtikrinti, kad ligoninėse, kuriose naudojamas Kymriah, dirbantys darbuotojai turėtų atitinkamą kvalifikaciją, jose būtų sudarytos atitinkamos sąlygos ir būtų rengiami reikiami mokymai. Reikia būti pasiruošus tocilizumabą, kurį būtų galima panaudoti pasireiškus citokinų išsiskyrimo sindromui. Bendrovė sveikatos priežiūros specialistams ir pacientams turi pateikti mokomąją medžiagą apie galimą šalutinį poveikį, ypač citokinų išsiskyrimo sindromą.

Bendrovė turi atlikti kelis tyrimus, kad surinktų daugiau informacijos apie Kymriah, įskaitant jo saugumą ir veiksmingumą taikant ilgalaikį gydymą ir gydant jaunesnius nei 3 metų amžiaus B ląstelių ŪLL sergančius pacientus.

Į preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį įtrauktos saugaus ir veiksmingo Kymriah vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kaip ir visų vaistų, Kymriah vartojimo duomenys yra nuolatos stebimi. Kymriah šalutinis poveikis yra kruopščiai vertinamas ir imamasi visų reikiamų priemonių pacientams apsaugoti.

Kita informacija apie Kymriah

Visoje ES galiojantis Kymriah registracijos pažymėjimas suteiktas 2018 m. rugpjūčio 23 d.

Daugiau informacijos apie Kymriah rasite Agentūros tinklalapyje adresu: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports.

Ši santrauka paskutinį kartą atnaujinta 2022-04.