



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/H/C/004090

Kymriah (*tisagenlecleucel*)

Een overzicht van Kymriah en waarom het is geregistreerd in de EU

Wat is Kymriah en wanneer wordt het voorgeschreven?

Kymriah is een geneesmiddel voor het behandelen van de volgende typen bloedkanker:

- acute lymfatische B-celleukemie (ALL) bij kinderen en jongvolwassenen tot 25 jaar oud van wie de kanker niet op eerdere behandeling heeft gereageerd, twee keer of vaker is teruggekomen of na een transplantatie van stamcellen is teruggekomen;
- diffuus grootcellig B-cellymfoom (DLBCL) en folliculair lymfoom (FL) bij volwassenen van wie de kanker is teruggekomen of niet heeft gereageerd op twee of meer eerdere behandelingen.

Kymriah is een geavanceerd geneesmiddel voor genterapie. Dit type geneesmiddel werkt door genen aan het lichaam toe te dienen.

De vormen van bloedkanker waarvoor Kymriah wordt gebruikt zijn zeldzaam, en Kymriah werd op [29 april 2014](#) voor B-cel-ALL, op [14 oktober 2016](#) voor DLBCL en op [19 juli 2021](#) voor FL aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame aandoeningen).

Kymriah bevat de werkzame stof tisagenlecleucel (die bestaat uit genetisch gemodificeerde witte bloedcellen).

Hoe wordt Kymriah gebruikt?

Kymriah wordt bereid met behulp van de eigen witte bloedcellen van de patiënt, die uit het bloed worden geëxtraheerd en genetisch worden gemodificeerd in het laboratorium.

Het middel wordt via enkelvoudige infusie (indruppeling) in een ader toegediend en mag alleen worden toegediend aan de patiënt wiens cellen zijn gebruikt om het te maken. Voordat de patiënt Kymriah krijgt toegediend, dient hij/zij een korte chemokuur te ondergaan om zijn/haar witte bloedcellen te verwijderen en vlak vóór de infusie krijgt hij/zij paracetamol en een antihistaminicum om het risico op reacties op de infusie te verminderen.

Het geneesmiddel tocilizumab en noodapparatuur moeten beschikbaar zijn voor het geval dat de patiënt als potentieel ernstige bijwerking het cytokineafgiftesyndroom krijgt, een potentieel

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



levensbedreigende aandoening die koorts, braken, kortademigheid, pijn en lage bloeddruk kan veroorzaken (zie de paragraaf over risico's hieronder).

Patiënten dienen na de behandeling gedurende tien dagen nauwlettend op bijwerkingen te worden gecontroleerd en hun wordt geadviseerd om na de behandeling gedurende ten minste vier weken in de buurt van een gespecialiseerd ziekenhuis te blijven.

Raadpleeg de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over het gebruik van Kymriah.

Hoe werkt Kymriah?

Kymriah bevat de eigen T-cellen (een type witte bloedcellen) van de patiënt, die in het laboratorium zodanig genetisch zijn gemodificeerd dat ze een eiwit aanmaken met de naam chimere antigeenreceptor (CAR). CAR kan zich hechten aan een ander eiwit op het oppervlak van kankercellen dat CD19 wordt genoemd.

Wanneer Kymriah aan de patiënt wordt toegediend, hechten de gemodificeerde T-cellen zich aan de kankercellen en doden ze deze, waardoor ze helpen om de kanker uit het lichaam te verwijderen.

Welke voordelen bleek Kymriah tijdens de studies te hebben?

B-cel-ALL

Bij de hoofdstudie naar Kymriah bij B-cel-ALL waren 92 kinderen en jongvolwassenen (van 3-25 jaar oud) betrokken van wie de kanker na eerdere behandeling was teruggekomen of niet op de behandeling had gereageerd. Ongeveer 66 % van de patiënten vertoonde in de drie maanden na de behandeling een complete respons (wat betekent dat bij hen geen tekenen van de kanker meer aanwezig waren). Dit was beter dan de resultaten die werden waargenomen bij de kankergeneesmiddelen clofarabine, blinatumomab of een combinatie van clofarabine, cyclofosfamide en etoposide. Twaalf maanden na de behandeling was de kans op overleving 70 %.

DLBCL

Bij de hoofdstudie naar Kymriah bij DLBCL waren 165 patiënten betrokken die ten minste twee eerdere behandelingen hadden ondergaan en die geen stamceltransplantatie konden ondergaan. Ongeveer 24 % van de patiënten vertoonde een complete respons en 34 % vertoonde een partiële respons na ten minste drie maanden. Deze resultaten waren vergelijkbaar met die uit studies bij patiënten die standaardkankerbehandelingen kregen. Twaalf maanden na de behandeling was de kans op overleving 40 %. De meeste patiënten die op Kymriah reageerden vertoonden na 19 maanden nog steeds een respons.

FL

Bij de hoofdstudie naar Kymriah bij FL waren 98 patiënten betrokken bij wie de kanker na eerdere behandeling was teruggekomen of niet op de behandeling had gereageerd. De patiënten hadden ten minste twee eerdere behandelingen ondergaan. Ongeveer 69 % van de patiënten vertoonde drie maanden na de behandeling een complete respons.

Welke risico's houdt het gebruik van Kymriah in?

Bij de meeste patiënten treden ernstige bijwerkingen op. De meest voorkomende ernstige bijwerkingen zijn het cytokineafgiftesyndroom en een verlaging van het aantal bloedplaatjes

(bestanddelen die het bloed helpen stollen), de hemoglobinespiegel (in rode bloedcellen aangetroffen eiwit dat zuurstof door het lichaam transporteert) of de concentratie witte bloedcellen, inclusief neutrofielen en lymfocyten.

Daarnaast krijgen patiënten die voor DLBCL of FL worden behandeld zeer vaak last van ernstige infecties.

Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van de bijwerkingen van en beperkende voorwaarden voor Kymriah.

Waarom is Kymriah geregistreerd in de EU?

Patiënten met B-cel-ALL hebben slechte vooruitzichten en de verbeteringen bij gebruik van Kymriah waren gunstiger dan bij andere geneesmiddelen voor deze aandoening. Bij patiënten met DLBCL die met Kymriah werden behandeld, waren de resultaten vergelijkbaar met die van andere behandelingen, maar gegevens uit lopend onderzoek wijzen erop dat de effecten langer aanhouden. Ook FL-patiënten bleken in sterke mate te reageren op Kymriah. Bij de meeste patiënten treden ernstige bijwerkingen op, mogelijk inclusief het cytokineafgiftesyndroom. Deze zijn echter beheersbaar als passende maatregelen worden genomen (zie hieronder). Het Europees Geneesmiddelenbureau heeft daarom geconcludeerd dat de voordelen van Kymriah groter zijn dan de risico's en dat dit middel geregistreerd kan worden voor gebruik in de EU.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Kymriah te waarborgen?

Het bedrijf dat Kymriah op de markt brengt, moet ervoor zorgen dat ziekenhuizen waar Kymriah wordt toegediend passende expertise, voorzieningen en training hebben. Tocilizumab moet voorhanden zijn in geval van cytokineafgiftesyndroom. Het bedrijf moet voorlichtingsmateriaal voor professionele zorgverleners en patiënten verstrekken over mogelijke bijwerkingen, met name het cytokineafgiftesyndroom.

Het bedrijf moet verschillende studies uitvoeren om meer informatie over Kymriah te verkrijgen, inclusief over de veiligheid en werkzaamheid van het middel op lange termijn en bij patiënten met B-cel-ALL van minder dan 3 jaar oud.

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Kymriah, zijn ook opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Zoals voor alle geneesmiddelen worden gegevens over het gebruik van Kymriah continu gevolgd. Bijwerkingen waargenomen voor Kymriah worden nauwkeurig geëvalueerd en zo nodig worden maatregelen getroffen om patiënten te beschermen.

Overige informatie over Kymriah

Op 23 augustus 2018 is een in de hele EU geldige vergunning voor het in de handel brengen van Kymriah verleend.

Meer informatie over Kymriah is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](https://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).

Dit overzicht is voor het laatst bijgewerkt in 04-2022.