



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/H/C/004090

## Kymriah (*tisagenlecleucel*)

Przegląd wiedzy na temat leku Kymriah i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

### Czym jest lek Kymriah i w jakim celu się go stosuje

Kymriah jest lekiem stosowanym w leczeniu następujących rodzajów nowotworu krwi:

- ostrej białaczki limfoblastycznej (ALL) z komórek B u dzieci, młodzieży i młodych dorosłych do 25. roku życia, których nowotwór nie reagował na wcześniejsze leczenie, będących w trakcie drugiego bądź kolejnego nawrotu choroby lub nawrotu choroby po transplantacji komórek macierzystych;
- chłoniaka rozlanego z dużych komórek B (DLBCL) i chłoniaka grudkowego (FL) u osób dorosłych, u których nastąpił nawrót choroby lub którzy nie reagowali na leczenie po dwóch lub większej liczbie wcześniejszych terapii.

Kymriah jest rodzajem leku do zaawansowanego leczenia, zwanym produktem terapii genowej. Jest to rodzaj leku, którego działanie polega na dostarczaniu genów do organizmu.

Nowotwory krwi, w leczeniu których stosuje się Kymriah, są uważane za rzadko występujące, zatem w dniu [29 kwietnia 2014 r.](#) (w leczeniu ALL z komórek B) i [14 października 2016 r.](#) (w leczeniu DLBCL) i [19 lipca 2021 r. w leczeniu chłoniaka grudkowego \(FL\)](#) lek Kymriah uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach).

Kymriah zawiera substancję czynną *tisagenlecleucel* (złożoną z modyfikowanych genetycznie krwinek białych).

### Jak stosować lek Kymriah

Lek Kymriah przygotowuje się z własnych krwinek białych pacjenta, które są ekstrahowane z krwi i modyfikowane genetycznie w laboratorium.

Lek podaje się w postaci jednorazowego wlewu dożylnego (kroplówki). Lek musi zostać podany pacjentowi, z krwinek którego został wytworzony. Przed podaniem leku Kymriah pacjent powinien otrzymać krótki cykl chemioterapii w celu usunięcia krwinek białych, a tuż przed wlewem pacjent otrzymuje paracetamol i lek antyhistaminowy, aby zmniejszyć ryzyko wystąpienia reakcji na wlew.

---

**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



Lek o nazwie tocilizumab wraz ze sprzętem ratunkowym muszą być dostępne w przypadku wystąpienia u pacjenta potencjalnie poważnego działania niepożądanego zwanego zespołem uwalniania cytokin, potencjalnie zagrażającego życiu stanu, który może powodować gorączkę, wymioty, duszność, ból i niskie ciśnienie krwi (patrz punkt dotyczący ryzyka poniżej).

Przez 10 dni po podaniu leku pacjentów należy poddawać uważnej obserwacji pod kątem działań niepożądanych i zaleca się pozostawanie w bliskiej odległości od szpitala specjalistycznego przez co najmniej 4 tygodnie po leczeniu.

Więcej informacji o sposobie stosowania leku Kymriah znajduje się w ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.

## **Jak działa lek Kymriah**

Kymriah zawiera własne limfocyty T pacjenta (rodzaj krwinek białych), które zostały zmodyfikowane genetycznie w laboratorium, aby wytwarzały białko o nazwie chimeryczny receptor antygenowy (CAR). CAR może się przyłączać do innego białka na powierzchni komórek nowotworowych, zwanego CD19.

Po podaniu leku Kymriah pacjentowi zmodyfikowane limfocyty T przyłączają się do komórek nowotworowych i zabijają je, pomagając w ten sposób usuwać nowotwór z organizmu.

## **Korzyści ze stosowania leku Kymriah wykazane w badaniach**

### **ALL z komórek B**

W badaniu głównym oceniającym zastosowanie leku Kymriah w leczeniu ALL z komórek B uczestniczyło 92 dzieci i młodych dorosłych (w wieku od 3 do 25 lat), u których nastąpił nawrót nowotworu po wcześniejszym leczeniu lub które nie reagowały na leczenie. U około 66% pacjentów uzyskano całkowitą odpowiedź na leczenie (co oznacza, że nie występowały u nich oznaki nowotworu) w ciągu 3 miesięcy po leczeniu. Wynik ten był lepszy niż w przypadku innych leków przeciwnowotworowych – kłofarabiny, blinatumomabu lub skojarzenia kłofarabiny, cyklofosfamidu i etopozydu. 12 miesięcy po leczeniu prawdopodobieństwo przeżycia wynosiło 70%.

### **DLBCL**

W badaniu głównym oceniającym stosowanie leku Kymriah w leczeniu DLBCL uczestniczyło 165 pacjentów po co najmniej 2 przebytych terapiach, u których nie można wykonać przeszczepu komórek macierzystych. U około 24% pacjentów wystąpiła całkowita odpowiedź na leczenie, a u 34% co najmniej częściowa odpowiedź po co najmniej 3 miesiącach. Wyniki te były porównywalne z wynikami badań u pacjentów otrzymujących standardowe leki przeciwnowotworowe. 12 miesięcy po leczeniu prawdopodobieństwo przeżycia wynosiło 40%. U większości pacjentów, u których wystąpiła odpowiedź na lek Kymriah, utrzymywała się ona po 19 miesiącach.

### **Chłoniak grudkowy (FL)**

W badaniu głównym nad FL uczestniczyło 98 pacjentów, u których wystąpił nawrót nowotworu po wcześniejszym leczeniu lub u których nie wystąpiła odpowiedź na leczenie. Pacjenci poddali się co najmniej 2 wcześniejszym terapiom. Pełna odpowiedź na leczenie wystąpiła u około 69% pacjentów po 3 miesiącach od zakończenia leczenia.

## Ryzyko związane ze stosowaniem leku Kymriah

U większości pacjentów występują poważne działania niepożądane. Najczęstsze poważne działania niepożądane to zespół uwalniania cytokin oraz spadek liczby płytek krwi (składniki, które wpływają na krzepnięcie krwi), stężenia hemoglobiny (białko występujące w krwinkach czerwonych rozprawdzające tlen po organizmie) lub liczby białych krwinek, w tym neutrofilów i limfocytów.

Ponadto poważne zakażenia to bardzo częste działania niepożądane u pacjentów leczonych na DLBCL i FL.

Pełny wykaz działań niepożądanych i ograniczeń związanych ze stosowaniem leku Kymriah znajduje się w ulotce dla pacjenta.

## Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Kymriah w UE

Pacjenci z ALL z komórek B mają słabe wyniki leczenia i w przypadku tej choroby poprawa po zastosowaniu leku Kymriah była większa niż w przypadku innych leków. U pacjentów z DLBCL otrzymujących lek Kymriah wyniki były zbliżone do innych leków, ale dane z trwającego badania wskazują, że efekty utrzymują się dłużej. Wykazano również, że lek Kymriah wywołuje silną odpowiedź u pacjentów z FL. Poważne działania niepożądane występują u większości pacjentów i mogą obejmować zespół uwalniania cytokin. Są one jednak możliwe do opanowania w przypadku dostępności odpowiednich środków (patrz poniżej). Europejska Agencja Leków (EMA) uznała zatem, że korzyści płynące ze stosowania leku Kymriah przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE.

## Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Kymriah

Firma wprowadzająca lek Kymriah do obrotu musi zagwarantować, że szpitale, w których podawany jest lek, dysponują odpowiednią wiedzą specjalistyczną, wyposażeniem i odpowiednio przeszkolonym personelem. W razie wystąpienia zespołu uwalniania cytokin konieczna jest dostępność tocilizumabu. Firma musi przekazać materiały edukacyjne dla personelu medycznego i pacjentów dotyczące możliwych działań niepożądanych, zwłaszcza zespołu uwalniania cytokin.

Firma musi przeprowadzić kilka badań, aby uzyskać więcej informacji na temat leku Kymriah, między innymi w odniesieniu do jego długoterminowego bezpieczeństwa i skuteczności oraz u pacjentów z ALL z komórek B w wieku poniżej 3 lat.

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Kymriah w Charakterystyce Produktu Leczniczego i w Ulotce dla pacjenta zawarto również zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane o stosowaniu leku Kymriah są stale monitorowane. Zgłaszane działania niepożądane leku Kymriah są starannie oceniane i podejmowane są wszystkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

## Inne informacje dotyczące leku Kymriah

Lek Kymriah otrzymał pozwolenie na dopuszczenie do obrotu, ważne w całej UE od dnia 23 sierpnia 2018 r.

Dalsze informacje na temat leku Kymriah znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).

Data ostatniej aktualizacji: 04.2022.