



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/H/C/004090

Kymriah (*tisagenlecleucel*)

Prezentare generală a Kymriah și motivele autorizării medicamentului în UE

Ce este Kymriah și pentru ce se utilizează?

Kymriah este un medicament care tratează următoarele tipuri de cancer al sângelui:

- leucemie acută limfoblastică (LAL) cu celule B la copii, adolescenți și adulți tineri până la vârsta de 25 de ani la care cancerul nu a răspuns la tratamentul anterior, a revenit de două sau mai multe ori sau a revenit după un transplant de celule stem;
- limfom difuz cu celule B mari (DLBCL) și limfom folicular (LF) la adulți la care cancerul a revenit sau nu a răspuns după două sau mai multe tratamente anterioare.

Kymriah este un tip de medicament pentru terapie avansată numit „medicament pentru terapie genică”. Acesta este un tip de medicament care acționează prin eliberarea de gene în organism.

Cancerle sângelui pentru tratarea cărora se utilizează Kymriah sunt rare, iar Kymriah a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament utilizat în boli rare) la [29 aprilie 2014](#) pentru LAL cu celule B, la [14 octombrie 2016](#) pentru DLBCL și la [19 iulie 2021](#) pentru LF.

Kymriah conține substanța activă tisagenlecleucel (care constă în globule albe modificate genetic).

Cum se utilizează Kymriah?

Kymriah se prepară utilizând propriile globule albe ale pacientului, care se extrag din sânge și se modifică genetic în laborator.

Se administrează ca perfuzie intravenoasă (picurare în venă) unică și trebuie administrat numai pacientului ale cărui celule au fost utilizate pentru producerea sa. Înainte de tratamentul cu Kymriah, pacientul trebuie să facă un ciclu scurt de chimioterapie pentru eliminarea globulelor alb, iar chiar înainte de perfuzie primește paracetamol și un medicament antihistaminic pentru a reduce riscul de reacții la perfuzie.

Trebuie să fie disponibile un medicament numit tocilizumab și echipament de urgență pentru cazul în care pacientul are o reacție adversă potențial gravă numită sindrom de eliberare de citokine, o afecțiune care poate pune viața în pericol și care poate cauza febră, vărsături, dificultăți de respirație, dureri și tensiune arterială mică (vezi mai jos secțiunea referitoare la riscuri).

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



Pacienții trebuie să fie monitorizați îndeaproape timp de 10 zile după tratament pentru depistarea reacțiilor adverse și li se recomandă să rămână în apropierea unui spital de specialitate timp de cel puțin 4 săptămâni după tratament.

Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Kymriah, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.

Cum acționează Kymriah?

Kymriah conține propriile celule T ale pacientului (un tip de globule albe) care au fost modificate genetic în laborator astfel încât să producă o proteină numită receptor de antigen chimeric (CAR). CAR se poate lega de o altă proteină de pe suprafața celulelor canceroase, numită CD19.

Când Kymriah se administrează pacientului, celulele T modificate se leagă de celulele canceroase și le omoară, ajutând astfel la eliminarea cancerului din organism.

Ce beneficii a prezentat Kymriah pe parcursul studiilor?

LAL cu celule B

Studiul principal privind Kymriah în LAL cu celule B a cuprins 92 de copii, adolescenți și tineri adulți (cu vârsta între 3 și 25 de ani) la care cancerul revenise după tratamentul anterior sau nu răspunsese la tratament. La aproximativ 66 % din pacienți s-a obținut un răspuns complet (ceea ce înseamnă că nu au mai prezentat semne de cancer) în interval de 3 luni după tratament. Acest rezultat a fost mai bun decât cele observate cu medicamentele împotriva cancerului clofarabină, blinatumomab sau combinația de medicamente clofarabină, ciclofosamidă și etoposidă. La douăsprezece luni după tratament, probabilitatea de supraviețuire era de 70 %.

DLBCL

Studiul principal privind Kymriah în DLBCL a cuprins 165 de pacienți care urmaseră cel puțin 2 tratamente anterioare și cărora nu li se putea face un transplant de celule stem. La aproximativ 24 % din pacienți s-a obținut un răspuns complet, iar la 34 % s-a obținut cel puțin un răspuns parțial după cel puțin 3 luni. Aceste rezultate au fost comparabile cu cele din studiile pe pacienți care au făcut tratamente standard împotriva cancerului. La douăsprezece luni după tratament, probabilitatea de supraviețuire era de 40 %. Majoritatea pacienților care au răspuns la Kymriah au continuat să răspundă la tratament după 19 luni.

Limfom folicular

Studiul principal pentru LF a cuprins 98 de pacienți la care cancerul revenise după tratamentul anterior sau nu răspunsese la tratament. Pacienții făcuseră anterior cel puțin 2 tratamente. La aproximativ 69 % din pacienți s-a obținut un răspuns complet la 3 luni după tratament.

Care sunt riscurile asociate cu Kymriah?

La majoritatea pacienților apar reacții adverse grave. Cele mai frecvente reacții adverse grave sunt sindromul de eliberare de citokine și valori scăzute ale trombocitelor (componente care ajută la coagularea sângelui), ale hemoglobinei (proteina din globulele roșii care transportă oxigenul în organism) sau ale globulelor albe, inclusiv ale neutrofilelor și limfocitelor.

În plus, infecțiile grave sunt reacții adverse foarte frecvente la pacienții tratați pentru DLBCL și LF.

Pentru lista completă a reacțiilor adverse și a restricțiilor asociate cu Kymriah, citiți prospectul.

De ce a fost autorizat Kymriah în UE?

Pacienții cu LAL cu celule B au rezultate nefavorabile, iar îmbunătățirile obținute cu Kymriah au fost mai semnificative decât cele obținute cu alte medicamente utilizate pentru această afecțiune. La pacienții cu DLBCL tratați cu Kymriah, rezultatele au fost similare celor obținute cu alte tratamente, dar datele provenite dintr-un studiu aflat în derulare arată că efectele durează mai mult. De asemenea, s-a dovedit că Kymriah produce un răspuns solid la pacienții cu LF. La majoritatea pacienților apar reacții adverse grave, printre care se poate număra sindromul de eliberare de citokine. Totuși, acestea sunt gestionabile terapeutic dacă se iau măsuri adecvate (vezi mai jos). Prin urmare, Agenția Europeană pentru Medicamente a hotărât că beneficiile Kymriah sunt mai mari decât riscurile asociate și acest medicament poate fi autorizat pentru utilizare în UE.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Kymriah?

Compania care comercializează Kymriah trebuie să se asigure că spitalele în care se administrează Kymriah dispun de experiența, dotările și instruirea adecvată. Tocilizumabul trebuie să fie disponibil pentru eventualitatea apariției sindromului de eliberare de citokine. Compania trebuie să furnizeze materiale educaționale pentru personalul medical și pentru pacienți cu privire la reacțiile adverse posibile, în special cu privire la sindromul de eliberare de citokine.

Compania trebuie să realizeze mai multe studii pentru a obține mai multe informații despre Kymriah, inclusiv despre siguranța și eficacitatea pe termen lung și la pacienții cu LAL cu celule B cu vârsta sub 3 ani.

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse, de asemenea, recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Kymriah, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Ca pentru toate medicamentele, datele cu privire la utilizarea Kymriah sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse raportate pentru Kymriah sunt evaluate cu atenție și sunt luate măsurile necesare pentru protecția pacienților.

Alte informații despre Kymriah

Kymriah a primit autorizație de punere pe piață, valabilă pe întreg teritoriul UE, la 23 august 2018.

Informații suplimentare cu privire la Kymriah sunt disponibile pe site-ul agenției: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](https://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).

Această prezentare generală a fost actualizată ultima dată în 04-2022.