



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/H/C/004090

Kymriah (*tisagenlecleucel*)

Prehľad o lieku Kymriah a prečo bol povolený v EÚ

Čo je liek Kymriah a na čo sa používa?

Kymriah je liek na liečbu týchto druhov rakoviny krvi:

- B-bunková akútna lymfoblastová leukémia (ALL) u detí a mladých dospelých do 25 rokov, ktorých rakovina neodpovedala na predchádzajúcu liečbu, dvakrát alebo viackrát sa vrátila, alebo sa vrátila po transplantácii kmeňových buniek,
- difúzny veľkobunkový B-lymfóm (DLBCL) a folikulový lymfóm (FL) u dospelých, ktorých sa rakovina vrátila alebo neodpovedala po dvoch alebo viacerých predchádzajúcich liečbach.

Liek Kymriah je druh lieku na inovatívnu liečbu a označuje sa ako tzv. liek na génovú terapiu. Ide o druh lieku, ktorý účinkuje tak, že telu dodáva gény.

Rakoviny krvi, na liečbu ktorých sa liek Kymriah používa, sú zriedkavé, a preto bol liek Kymriah [29. apríla 2014](#) označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia pre B-bunkovú akútnu lymfoblastovú leukémiu, [14. októbra 2016](#) pre DLBCL a [19. júla 2021](#) pre [folikulový lymfóm](#).

Liek Kymriah obsahuje liečivo tisagenlecleucel (ktorý sa skladá z geneticky upravených bielych krviniek).

Ako sa liek Kymriah používa?

Liek Kymriah sa pripravuje s použitím vlastných bielych krviniek pacienta, ktoré sú extrahované z krvi a geneticky upravené v laboratóriu.

Liek sa podáva formou jednej infúzie (na kvapkanie) do žily a smie sa podať len pacientovi, ktorého bunky sa použili na prípravu lieku. Pred podaním lieku Kymriah má pacient absolvovať krátky cyklus chemoterapie na odstránenie bielych krviniek a tesne pred infúziou sa mu podá paracetamol a antihistaminikum na zníženie rizika reakcií na infúziu.

K dispozícii musí byť liek nazývaný tocilizumab a núdzové vybavenie pre prípad, že pacient má potenciálne závažný vedľajší účinok nazývaný syndróm uvoľnenia cytokínov, ktorý môže byť životu nebezpečný a spája sa s horúčkou, vracaním, dýchavičnosťou, bolesťou a nízkym krvným tlakom (pozri časť týkajúcu sa rizík uvedenú ďalej).

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



Pacientov je potrebné starostlivo sledovať desať dní po liečbe z hľadiska vedľajších účinkov a treba ich informovať, aby ostali v blízkosti špecializovanej nemocnice aspoň štyri týždne po liečbe.

Viac informácií o používaní lieku Kymriah si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárnika.

Akým spôsobom liek Kymriah účinkuje?

Liek Kymriah obsahuje vlastné T bunky (druh bielych krviniek) pacienta, ktoré boli v laboratóriu geneticky upravené tak, aby vytvárali proteín nazývaný chimérový antigénový receptor (CAR). CAR sa môže na povrchu rakovinových buniek naviazať na iný proteín nazývaný CD19.

Ak sa liek Kymriah podá pacientovi, upravené T bunky sa naviažu na rakovinové bunky a usmrčia ich, čo pomôže odstrániť rakovinu z tela.

Aké prínosy lieku Kymriah boli preukázané v štúdiách?

B-bunková ALL

Na hlavnej štúdii lieku Kymriah pri B-bunkovej ALL sa zúčastnilo 92 detí a mladých dospelých (vo veku od 3 do 25 rokov), v prípade ktorých sa rakovina po predchádzajúcej liečbe vrátila alebo na liečbu neodpovedala. Do troch mesiacov po liečbe dosiahlo úplnú odpoveď približne 66 % pacientov (to znamená, že už nemali žiadne prejavy rakoviny). To bolo lepšie než výsledky pozorované pri protirakovinových liekoch klofarabín a blinatumomab, alebo pri kombinácii klofarabínu, cyklofosfamidu a etopozidu. Dvanásť mesiacov po liečbe bola pravdepodobnosť prežitia 70 %.

DLBCL

Na hlavnej štúdii lieku Kymriah pri DLBCL sa zúčastnilo 165 pacientov, ktorí v minulosti absolvovali aspoň dve liečby a nemohli podstúpiť transplantáciu kmeňových buniek. Približne 24 % pacientov dosiahlo úplnú odpoveď a 34 % pacientov dosiahlo aspoň čiastočnú odpoveď po minimálne troch mesiacoch. Tieto výsledky boli porovnateľné s výsledkami zo štúdií zahŕňajúcich pacientov podstupujúcich štandardné protirakovinové liečby. Dvanásť mesiacov po liečbe bola pravdepodobnosť prežitia 40 %. Väčšina pacientov, ktorá odpovedala na liek Kymriah, dosahovala odpoveď aj po 19 mesiacoch.

Folikulový lymfóm

Na hlavnej štúdii zameranej na folikulový lymfóm sa zúčastnilo 98 pacientov, ktorých rakovina sa vrátila po predchádzajúcej liečbe alebo neodpovedala na liečbu. Všetci pacienti v minulosti absolvovali najmenej dve predchádzajúce liečby. Po 3 mesiacoch sa približne u 69 % pacientov zaznamenala úplná odpoveď.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Kymriah?

Závažné vedľajšie účinky sa vyskytujú u väčšiny pacientov. Najčastejšie závažné vedľajšie účinky sú syndróm uvoľnenia cytokínov a znížený počet krvných doštičiek (zložky, ktoré pomáhajú pri zrážaní krvi), hemoglobínu (proteín nachádzajúci sa v červených krvinkách, ktorý prenáša po tele kyslík) alebo bielych krviniek vrátane neutrofilov a lymfocytov.

Veľmi častým vedľajším účinkom u pacientov s DLBCL a folikulovým lymfómom sú ťažké infekcie.

Zoznam všetkých vedľajších účinkov a obmedzení týkajúcich sa lieku Kymriah sa nachádza v písomnej v informácii pre používateľa.

Prečo bol liek Kymriah povolený v EÚ?

Pacienti s B-bunkovou ALL majú zlé výsledky a zlepšenia dosiahnuté pomocou lieku Kymriah boli lepšie ako pri použití iných liekov na toto ochorenie. V prípade pacientov s DLBCL liečených liekom Kymriah boli výsledky podobné ako pri iných liekoch, z údajov prebiehajúcej štúdie však vyplýva, že účinky trvajú dlhšie. Preukázalo sa, že odpoveď pacientov s FL na liek Kymriah je presvedčivá. Závažné vedľajšie účinky sa vyskytujú u väčšiny pacientov a môžu zahŕňať syndróm uvoľnenia cytokínov. Tieto vedľajšie účinky sú však zvládnuteľné, ak sa zavedú príslušné opatrenia (pozri ďalej). Európska agentúra pre lieky preto rozhodla, že prínosy lieku Kymriah sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním a že liek môže byť povolený na jeho používanie v EÚ.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Kymriah?

Spoločnosť, ktorá liek Kymriah uvádza na trh, musí zabezpečiť, aby v nemocniciach, kde sa liek Kymriah podáva, boli k dispozícii príslušné odborné znalosti, zariadenia a zaškolenie. V prípade výskytu syndrómu uvoľnenia cytokínov musí byť k dispozícii tocilizumab. Spoločnosť musí zdravotníckym pracovníkom a pacientom poskytnúť vzdelávacie materiály týkajúce sa možných vedľajších účinkov, najmä syndrómu uvoľnenia cytokínov.

Spoločnosť musí uskutočniť niekoľko štúdií s cieľom získať viac informácií o lieku Kymriah vrátane jeho dlhodobej bezpečnosti a účinnosti a u pacientov s B-bunkovou ALL mladších ako tri roky.

Na bezpečné a účinné používanie lieku Kymriah boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté aj odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o používaní lieku Kymriah sa neustále monitorujú. Vedľajšie účinky hlásené pri lieku Kymriah sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

Ďalšie informácie o lieku Kymriah

Lieku Kymriah bolo 23. augusta 2018 udelené povolenie na uvedenie na trh platné v celej EÚ.

Ďalšie informácie o lieku Kymriah sa nachádzajú na webovej stránke agentúry: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports.

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 04-2022