



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/H/C/004090

Kymriah (*tisagenlecleucel*)

Sammanfattning av Kymriah och varför det är godkänt inom EU

Vad är Kymriah och vad används det för?

Kymriah är ett läkemedel för behandling av följande typer av blodcancer:

- Akut lymfatisk B-cellsleukemi (ALL), hos barn och unga vuxna upp till 25 års ålder vars cancer inte svarade på tidigare behandling, har kommit tillbaka två eller fler gånger, eller har kommit tillbaka efter transplantation av stamceller.
- Diffust storcelligt B-cellslymfom (DLBCL) och follikulärt lymfom (FL) hos vuxna vars cancer har kommit tillbaka eller inte svarat på två eller fler tidigare behandlingar.

Kymriah är en typ av läkemedel för avancerad terapi som kallas "genterapiprodukt". Det är en typ av läkemedel som verkar genom att gener förs in i kroppen.

De blodcancerformer som Kymriah används för att behandla är sällsynta och Kymriah klassificerades som sär läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) för B-cells-ALL den [29 april 2014](#), för DLBCL den [14 oktober 2016](#) och för FL den [19 juli 2021](#).

Kymriah innehåller den aktiva substansen tisagenlecleucel (bestående av genmodifierade vita blodkroppar).

Hur används Kymriah?

Kymriah tillverkas med hjälp av patientens egna vita blodkroppar som utvinns ur blodet och genmodifieras i laboratorium.

Det ges som en engångsinfusion (dropp) i en ven och får bara ges till den patient vars blodkroppar användes för att framställa det. Innan Kymriah administreras ska patienten få en kort behandlingskur av kemoterapi så att de vita blodkropparna rensas bort, och strax innan infusionen påbörjas får patienten paracetamol och ett antihistaminläkemedel för att minska risken för reaktioner till följd av infusionen.

Ett läkemedel som kallas tocilizumab och nödutrustning ska finnas till hands i händelse av att patienten drabbas av cytokinfrisättningsyndrom, ett potentiellt livshotande tillstånd som kan orsaka feber, kräkningar, andfåddhet, smärta och lågt blodtryck (se avsnittet om risker nedan).

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



Patienterna ska övervakas noga avseende biverkningar under de 10 dagar som följer efter behandlingen och bör vistas i närheten av ett specialistsjukhus under minst fyra veckor efter behandlingen.

För att få mer information om hur du använder Kymriah, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

Hur verkar Kymriah?

Kymriah innehåller patientens egna T-celler (en typ av vita blodkroppar) som har genmodifierats i laboratorium så att de framställer ett protein som kallas chimär antigenreceptor (CAR). CAR kan fästa vid ett annat protein på cancercellernas yta som kallas CD19.

När Kymriah ges till patienten binder de modifierade T-cellerna till cancercellerna och dödar dem, vilket bidrar till att rena kroppen från cancer.

Vilka fördelar med Kymriah har visats i studierna?

B-cells-ALL

Huvudstudien av Kymriah vid B-cells-ALL omfattade 92 barn och unga vuxna (3–25 års ålder) vars cancer hade kommit tillbaka efter tidigare behandling eller inte hade svarat på behandling. Cirka 66 procent av patienterna uppvisade ett fullständigt svar (vilket betyder att de inte längre hade några tecken på cancer) under de 3 månader som följde efter behandlingen. Detta överträffade de resultat som sågs med cancerläkemedlen klofarabin, blinatumomab eller en kombination av klofarabin, cyklofosamid och etoposid. Tolv månader efter behandlingen låg sannolikheten för överlevnad på 70 procent.

DLBCL

Huvudstudien av Kymriah vid DLBCL omfattade 165 patienter som hade genomgått minst två tidigare behandlingar och inte kunde genomgå stamcellstransplantation. Cirka 24 procent av patienterna uppvisade ett fullständigt svar och 34 procent uppvisade åtminstone ett delvis svar efter minst 3 månader. Dessa resultat var jämförbara med dem från studier på patienter som fick standardbehandlingar mot cancer. Tolv månader efter behandlingen låg sannolikheten för överlevnad på 40 procent. De flesta patienter som svarade på Kymriah fortsatte att uppvisa ett svar på behandling efter 19 månader.

FL

I huvudstudien av Kymriah vid follikulärt lymfom ingick 98 patienter vars cancer hade kommit tillbaka efter tidigare behandling eller patienter som inte hade svarat på behandling. Patienterna hade genomgått minst två tidigare behandlingar. Omkring 69 procent av patienterna uppvisade ett fullständigt svar tre månader efter behandlingen.

Vilka är riskerna med Kymriah?

Merparten av patienterna drabbas av allvarliga biverkningar. De vanligaste allvarliga biverkningarna är cytokinfrisättningsyndrom och sänkta nivåer av blodplättar (komponenter som hjälper blodet att koagulera), hemoglobin (proteinet i de röda blodkropparna som transporterar runt syre i kroppen) eller vita blodkroppar, inräknat neutrofiler och lymfocyter.

Dessutom är det mycket vanligt med allvarliga infektioner hos patienter som behandlas för DLBCL och FL.

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Kymriah finns i bipacksedeln.

Varför är Kymriah godkänt i EU?

Patienter med B-cells-ALL har en dålig prognos och förbättringarna med Kymriah var större än med andra läkemedel mot denna sjukdom. Resultaten hos patienter med DLBCL som behandlades med Kymriah liknade dem som setts vid andra behandlingar, men data från pågående studier tyder på att effekterna håller i sig längre. Det visade sig också att Kymriah gav ett robust behandlingssvar hos patienter med FL. Merparten av patienterna drabbas av allvarliga biverkningar, och cytokinfrisättningsyndrom kan vara en av dem. Dessa kan dock hanteras om lämpliga resurser finns till hands (se nedan). Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fann därför att fördelarna med Kymriah är större än riskerna och att Kymriah skulle godkännas för försäljning i EU.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Kymriah?

Företaget som marknadsför Kymriah måste säkerställa att lämplig expertis, utrustning och utbildning finns på de sjukhus där Kymriah ges. Tocilizumab måste finnas till hands i händelse av att cytokinfrisättningsyndrom uppstår. Företaget måste förse hälso- och sjukvårdspersonal och patienter med utbildningsmaterial om möjliga biverkningar, särskilt om cytokinfrisättningsyndrom.

Företaget måste utföra flera studier för att erhålla mer information om Kymriah, bland annat dess säkerhet och effekt på lång sikt och hos B-cells-ALL-patienter under 3 års ålder.

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Kymriah har också tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för läkemedlet kontinuerligt. Biverkningar som har rapporterats för Kymriah utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienter.

Mer information om Kymriah

Den 23 augusti 2018 beviljades Kymriah ett godkännande för försäljning som gäller i hela EU.

Mer information om Kymriah finns på EMA:s webbplats: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](https://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).

Denna sammanfattning uppdaterades senast 04-2022.