



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/CHMP/249031/2016
EMA/H/C/003854

Kokkuvõte üldsusele

Strimvelis

Autoloogne CD34+ rakkudega rikastatud rakufraktsioon, mis sisaldab inimese adenosiindeaminaasi (ADA) cDNA järjestust kodeeriva retroviirusvektoriga transdutseeritud CD34+ rakke

See on ravimi Strimvelis Euroopa avaliku hindamisaruande kokkuvõte. Selles selgitatakse, kuidas amet hindas ravimit, et soovitada müügiloo andmist Euroopa Liidus ja kasutustingimusi. Hindamisaruandes ei anta Strimvelise kasutamise praktilisi nõuandeid.

Kui vajate Strimvelise kasutamise praktilisi nõuandeid, lugege pakendi infolehte või pöörduge oma arsti või apteekri poole.

Mis on Strimvelis ja milleks seda kasutatakse?

Strimvelis on ravim, mida kasutatakse adenosiindeaminaasi vaegusest põhjustatud raske kombineeritud immuunpuudulikkuse raviks. Adenosiindeaminaasi vaegusest põhjustatud raske kombineeritud immuunpuudulikkus on harvaesinev pärilik haigus, mille korral esineb muutus (mutatsioon) ensüümi adenosiindeaminaasi tootmiseks vajalikus geenis. Selle tulemusena on patsiendil ensüümi adenosiindeaminaasi vaegus. Et adenosiindeaminaas on oluline lümfotsüütide (infektsiooniga võitlevate vere valgeliblede) normaalseks toimimiseks, ei toimi adenosiindeaminaasi vaegusest põhjustatud raske kombineeritud immuunpuudulikkusega patsientidel immuunsüsteem korralikult ning nad elavad ilma efektiivse ravita harva kauem kui 2 aastat.

Strimvelist kasutatakse adenosiindeaminaasi vaegusest põhjustatud raske kombineeritud immuunpuudulikkusega patsientidel, keda ei saa ravida luuüdi siirdamisega, sest neile ei ole leitud sobivate näitajatega sugulasest doonorit.

Strimvelis sisaldab patsiendi oma luuüdist pärinevaid rakke. Mõningaid rakke (CD34+ rakke) on geneetiliselt muudetud, et nad sisaldaksid adenosiindeaminaasi suhtes toimivat geeni. Strimvelis on

30 Churchill Place • Canary Wharf • London E14 5EU • United Kingdom

Telephone +44 (0)20 3660 6000 Facsimile +44 (0)20 3660 5555

Send a question via our website www.ema.europa.eu/contact

An agency of the European Union



geeniteraapiaravimite hulka kuuluv uudne ravim. Need on ravimid, mille toime seisneb geenide viimises organismi.

Et adensiindeaminaasi vaegusest põhjustatud raske kombineeritud immuunpuudulikkusega patsientide arv on väike ja seda haigust esineb harva, nimetati Strimvelis 26. augustil 2005 harvikravimiks.

Kuidas Strimvelist kasutatakse?

Strimvelis on retseptiravim ning seda tohib määrata ainult vastavas siirdamiskeskuses arst, kellel on kogemusi adensiindeaminaasi vaegusest põhjustatud raske kombineeritud immuunpuudulikkuse ravis ja seda tüüpi ravimite kasutamises.

Strimvelise valmistamiseks võetakse patsiendi luuüdist kaks proovi – üks Strimvelise valmistamiseks ja teine varuks, kui Strimvelist ei saa manustada või kui see ei toimi. Strimvelist võib kasutada ainult selle patsiendi raviks, kelle luuüdi ravimi valmistamiseks kasutati. Strimvelist manustatakse veeniinfusioonina ligikaudu 20 minuti jooksul. Annus sõltub patsiendi kehakaalust.

Enne Strimvelise manustamist saavad patsiendid ettevalmistavat ravi teise ravimi busulfaaniga, et defektsetest luuüdi rakkudest vabaneda. Patsientidele süstitakse ka vahetult enne ravi antihistamiini, et vähendada allergiliste reaktsioonide tekke riski.

Üksikasjalik teave on pakendi infolehel.

Kuidas Strimvelis toimib?

Strimvelise valmistamiseks võetakse patsiendi luuüdist proov. Seejärel ekstraheeritakse luuüdi rakkudest CD34+ rakud (rakud, mis on võimelised tootma lümfotsüüte). CD34+ rakkudesse sisestatakse adensiindeaminaasi suhtes toimiv geen, kasutades teatud tüüpi viirust, retroviirust, mida on geneetiliselt muudetud, et see kannaks adensiindeaminaasi suhtes toimiva geeni rakkudesse ega põhjustaks inimestel viirushaigust.

Pärast patsiendi veeni manustamist kandub Strimvelis verrega luuüdisse, kus CD34+ rakud hakkavad kasvama ja tootma normaalseid lümfotsüüte, mis on võimelised tootma adensiindeaminaasi. Need lümfotsüüdid parandavad patsiendi võimet võidelda infektsioonidega ja tulla toime immuunsüsteemiga seotud seisundite sümptomitega. Need toimed püsivad eeldatavalt kogu patsiendi elu jooksul.

Milles seisneb uuringute põhjal Strimvelise kasulikkus?

Strimvelise kasulikkust tõendati ühes põhiuuringus, milles osales 12 patsienti vanuses 6 kuust ligikaudu 6 aastani, kellel oli adensiindeaminaasi vaegusest põhjustatud raske kombineeritud immuunpuudulikkus. Uuringus osalenud patsientidel puudus sobiv luuüdi doonor ja alternatiivne ravi ei toiminud või ei olnud saadaval. Kõik Strimvelisega ravitud patsiendid olid 3 aasta möödumisel ravist veel elus. Raskete infektsioonide esinemissagedus vähenes pärast ravi ja jätkas vähenemist ka pikemaajalise järelkontrolli käigus pärast 3 aasta möödumist.

Mis riskid Strimvelisega kaasnevad?

Strimvelise kõige sagedam kõrvalnäht (võib esineda kuni 1 patsiendil 10st) on pürekxia (palavik). Strimvelise tõsiste kõrvalnähtude hulka võivad kuuluda autoimmuunsusega seotud nähud (kui immuunsüsteem ründab keha enda rakke), näiteks hemolüütiline aneemia (vere punaliblede vähesus nende liiga kiire lagunemise tõttu), aplastiline aneemia (vererakkude vähesus luuüdi kahjustuse tõttu),

hepatiit (maksapõletik), trombotsütopeenia (trombotsüütide vähesus) ja Guillain-Barré sündroom (närvikahjustus, mis võib põhjustada valu, tuimust, lihaskõhvi ja kõndimisraskusi).

Strimvelist ei tohi kasutada leukeemia (vere valgeliblede vähk) või müelodüsplaasiaga (teatud tüüpi luuüdihaire) patsientidel ega neil, kellel neid seisundeid on varem esinenud. Seda ei tohi kasutada patsientidel, kellel on analüüsides tuvastatud inimese immuunpuudulikkuse viirus (HIV, AIDS) põhjustav viirus) või muid infektsioone, ega patsientidel, kellel on geeniravi varem kasutatud.

Strimvelise kohta teatatud piirangute ja kõrvalnähtude täielik loetelu on pakendi infolehel.

Miks Strimvelis heaks kiideti?

Inimravimite komitee otsustas, et Strimvelise kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid, ja soovitas ravimi kasutamise Euroopa Liidus heaks kiita. Strimvelis võimaldab parandada eluohtliku haiguse, adenosiindeaminaasi vaegusest põhjustatud raske kombineeritud immuunpuudulikkusega patsientide immuunsüsteemi toimimist. Põhiuuringu tulemuste kohaselt parandab Strimvelis efektiivselt adenosiindeaminaasi vaegusest põhjustatud raske kombineeritud immuunpuudulikkusega patsientide elumust. Ohutuse aspektist oli Strimvelis suhteliselt hästi talutav, kuigi uuritud patsientide väikse arvu tõttu on andmed piiratud. Et Strimvelist valmistatakse retroviiruse abil, võivad geneetilises materjalis soovimatud muutused potentsiaalselt tekitada vähi haigestumise riski, kuigi seni ei ole selliseid juhtumeid esinenud. Esineb ka potentsiaalne autoimmuunse haiguse tekke risk. Nende juhtude suhtes jälgimiseks rakendatakse pärast ravimi kasutuselevõtmist meetmeid, luues patsientide registri nende tervisliku seisundi pikaajaliseks uurimiseks.

Mis meetmed võetakse, et tagada Strimvelise ohutu ja efektiivne kasutamine?

Töötati välja riskijuhtimiskava, et tagada Strimvelise võimalikult ohutu kasutamine. Selle alusel lisati Strimvelise ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele ravimi ohutusteave, kus on ka tervishoiuspetsialistide ja patsientide võetavad meetmed.

Strimvelist tootev ettevõtte koostab lisaks patsientide ja tervishoiuspetsialistide teabematerjali, mis sisaldab ravimi teavet, ning patsiendid peavad allkirjastama enne ravi alustamist nõusoleku vormi. Ettevõtte peab ka Strimvelisega ravitavate patsientide registrit ja jälgib pärast ravi regulaarselt nende tervislikku seisundit, et uurida ravimi pikaajalist ohutust.

Muu teave Strimvelise kohta

Euroopa avaliku hindamisaruande täistekst Strimvelise kohta on ameti veebilehel: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Kui vajate Strimvelisega toimuva ravi kohta lisateavet, lugege palun pakendi infolehte (mis on samuti Euroopa avaliku hindamisaruande osa) või pöörduge oma arsti või apteekri poole.

Harvikravimite komitee arvamuse kokkuvõtte Strimvelise kohta on ameti veebilehel: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.