



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Julkinen EPAR-yhteenveto

Strimvelis

Autologinen CD34+-rikastettu solufraktio, jonka sisältämiin CD34+-soluihin on transduktoitu retrovirusvektori, joka koodaa ihmisen ADA cDNA -sekvenssiä

Tämä on yhteenveto Euroopan julkisesta arviointilausunnosta (EPAR), joka koskee Strimvelis-lääkevalmistetta. Tekstissä selitetään, miten virasto on arvioinut lääkevalmistetta ja päätenyt puoltamaan myyntiluvan myöntämistä ja suosituksiin sen käytön ehdoista. Tarkoituksena ei ole antaa käytännön neuvoja Strimvelisin käytöstä.

Potilas saa Strimvelisin käyttöä koskevaa käytännön tietoa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Mitä Strimvelis on ja mihin sitä käytetään?

Strimvelis on tarkoitettu adenosiinideaminaasin puutteesta johtuvan vaikean kombinoidun immuunivajauksen (ADA-SCID) hoitoon. ADA-SCID on harvinainen perinnöllinen sairaus, jossa adenosiinideaminaasientsyymiä tuottavassa geenissä on muutos (mutaatio). Tämä johtaa potilailla ADA-entsyymien puutokseen. Koska lymfosyytit (infektioita torjuvat valkosolut) tarvitsevat ADA:ta säilyäkseen terveinä, ADA-SCID-potilaiden immuunijärjestelmä ei toimi kunnolla ja ilman tehokasta hoitoa he harvoin elävät kahta vuotta pidempään.

Strimvelisiä käytetään ADA-SCID-potilailla, joille ei voida tehdä luuydinsiirtoa, koska sopivaa sukulaistuottajaa ei ole käytettävissä.

Strimvelis sisältää potilaan omasta luuytimeistä kerättyjä soluja. Tiettyjä soluja (CD34+-soluja) on muunneltu geneettisesti siten, että ne sisältävät toimivan ADA-geenin. Strimvelis on pitkälle kehittyneissä hoidoissa käytettävä geenihoidovalmiste. Tällaiset lääkkeet vaikuttavat kuljettamalla genejä elimistöön.



Koska ADA-SCID-potilaita on vähän, sairaus katsotaan harvinaiseksi; Strimvelis nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 26. elokuuta 2005.

Miten Strimvelisiä käytetään?

Strimvelisiä saa ainoastaan lääkemääräyksenä. Strimvelis on annettava erikoistuneessa elinsiirtokeskuksessa, ja sen voi antaa vain lääkäri, jolla on aikaisempaa kokemusta ADA-SCID-potilaiden hoidosta ja tämälntyyppisen lääkevalmisteen käytöstä.

Strimvelis-hoitoa varten potilaalta kerätään kaksi luuydinnäytettä, yksi Strimvelisin valmistamiseksi ja toinen varalle, jos Strimvelisiä ei voidakaan antaa tai se ei tehoa. Strimvelisiä voidaan antaa vain sen potilaan hoitamiseksi, jonka luuytimeistä lääke on valmistettu. Strimvelis annetaan infuusiona laskimoon noin 20 minuutin aikana. Annostus määräytyy potilaan painon mukaan.

Ennen kuin potilaille annetaan Strimvelisiä, he saavat valmistelevana hoitona toista lääkevalmistetta, busulfaania, epänormaalien luuydinsolujen tuhoamiseksi. Lisäksi potilaille annetaan juuri ennen hoidon aloittamista antihistamiini-injektio allergisten reaktioiden riskin vähentämiseksi.

Lisätietoja on pakkausselosteessa.

Miten Strimvelis vaikuttaa?

Strimvelisin valmistamiseksi potilaalta otetaan luuydinnäyte. Luuydinsoluista kerätään CD34+-soluja (soluja, jotka tuottavat lymfosyyttejä). Näihin CD34+-soluihin siirretään toimiva ADA-geeni käyttämällä retrovirusta, jota on muunneltu geneettisesti siten, että se voi kuljettaa ADA-geenin soluihin aiheuttamatta ihmiselle virussairauksia.

Kun solut siirretään takaisin potilaalle laskimon kautta, Strimvelis kulkeutuu verenkierron mukana luuytimeen, jossa CD34+-solut alkavat kasvaa ja muodostaa normaaleja lymfosyyttejä, jotka voivat tuottaa ADA:ta. Nämä lymfosyytit parantavat potilaan kykyä torjua infektioita ja siten poistavat immuunijärjestelmään liittyvän sairauden oireita. Vaikutusten odotetaan kestävän koko potilaan eliniän.

Mitä hyötyä Strimvelisistä on havaittu tutkimuksissa?

Strimvelisin hyödyt on osoitettu yhdessä päätutkimuksessa, johon osallistui 12 ADA-SCID-potilasta, joiden iät vaihtelivat kuudesta kuukaudesta noin kuuteen vuoteen. Tutkimukseen osallistuneilla potilailla ei ollut sopivaa luuytimen luovuttajaa, ja heidän kohdallaan vaihtoehtoinen hoito ei joko ollut toiminut tai sitä ei ollut saatavilla. Kaikki potilaat saivat Strimvelis-hoitoa ja he olivat vielä elossa, kun hoidosta oli kulunut kolme vuotta. Vaikeiden infektioiden esiintyvyys pieneni hoidon jälkeen ja se pieneni edelleen yli kolme vuotta kestäneen seurantajakson aikana.

Mitä riskejä Strimvelisiin liittyy?

Strimvelisin yleisin sivuvaikutus (jota saattaa aiheutua enintään 1 potilaalle 10:stä) on kuume. Strimvelisin vakavia sivuvaikutuksia voivat olla autoimmuunit haittavaikutukset (kun immuunijärjestelmä hyökkää kehon omia soluja vastaan), kuten hemolyyttinen anemia (punasolujen kiihtyneestä hajoamisesta johtuva veren punasolujen vähyys), aplastinen anemia (luuytimen vaurioitumisesta johtuva veren punasolujen vähyys), hepatiitti (maksatulehdus), trombosytopenia (verihituleiden vähyys veressä) ja Guillain-Barrén oireyhtymä (hermojen vaurioituminen, joka voi aiheuttaa kipua, puutumista, lihasheikkoutta ja kävelyvaikeuksia).

Strimvelisiä ei saa antaa potilaille, joilla on tai on ollut leukemia (valkosolujen syöpä) tai myelodysplasia (luuytimen sairaus). Sitä ei saa antaa potilaille, joilla on todettu immuunikatovirus (HIV, AIDSin aiheuttava virus) tai jokin muu infektio, eikä potilaille, jotka ovat joskus aikaisemmin saaneet geeniterapiaa.

Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Strimvelisin ilmoitetuista sivuvaikutuksista.

Miksi Strimvelis on hyväksytty?

Viraston lääkevalmistekomitea (CHMP) katsoi, että Strimvelisin hyöty on sen riskejä suurempi, ja suositteli myyntiluvan myöntämistä sille EU:ssa. Strimvelis tarjoaa mahdollisuuden hoitoon, joka parantaa hengenvaarallista ADA-SCID:tä sairastavien potilaiden immuunijärjestelmän toimintaa. Päätutkimuksen tulokset osoittavat, että Strimvelis parantaa tehokkaasti ADA-SCID-potilaiden eloonjäämistä. Turvallisuuden osalta Strimvelis oli melko hyvin siedettyä, joskin tiedot ovat rajalliset tutkittujen potilaiden pienen määrän takia. Koska Strimvelis valmistetaan käyttämällä retrovirusta, on mahdollista, että tahattomat muutokset perintöaineksessa aiheuttavat syövän, mutta yhtään tällaista tapausta ei ole toistaiseksi ilmennyt. Myös autoimmunisairauksien riski on olemassa. Näitä tapahtumia kuitenkin seurataan lääkkeen käytön jälkeen potilasrekisterin avulla pitkäaikaisen kehityksen tutkimiseksi.

Miten voidaan varmistaa Strimvelisin turvallinen ja tehokas käyttö?

Strimvelisin mahdollisimman turvallisen käytön varmistamiseksi on laadittu riskinhallintasuunnitelma. Sen mukaiset turvallisuustiedot on liitetty Strimvelisin valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen, mukaan lukien tiedot asianmukaisista varotoimista terveydenhoidon ammattilaisten ja potilaiden noudatettaviksi.

Lisäksi Strimvelisiä valmistava yhtiö tarjoaa potilaille ja terveydenhoidon ammattilaisille koulutusmateriaalia, joka sisältää tietoa lääkevalmisteesta, ja potilaiden on allekirjoitettava suostumuslomake ennen hoidon aloittamista. Yhtiö aikoo myös ylläpitää rekisteriä Strimvelis-hoitoa saaneista potilaista ja seurata heidän tilansa kehitystä säännöllisesti hoidon jälkeen lääkevalmisteen pitkäaikaisen turvallisuuden tutkimiseksi.

Muuta tietoa Strimvelisistä

Strimvelisiä koskeva EPAR-arviointilausunto on kokonaisuudessaan viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports.

Lisää tietoa Strimvelisillä annettavasta hoidosta saa pakkausselosteesta (sisältyy myös EPAR-lausuntoon), lääkäriltä tai apteekista.

Tiivistelmä harvinaislääkekomitean Strimvelisiä koskevasta lausunnosta on viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation.