



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## EPAR-összefoglaló a nyilvánosság számára

---

### Strimvelis

Autológ, CD34+ -gyel dúsított sejtfrakció, amely humán ADA cDNS szekvenciát kódoló retrovirális vektorral transzdukált CD34+ sejteket tartalmaz

Ez a dokumentum a Strimvelis-re vonatkozó európai nyilvános értékelő jelentés (EPAR) összefoglalója. Azt mutatja be, hogy az Ügynökségnek a gyógyszerre vonatkozó értékelése miként vezetett az EU-ban érvényes forgalomba hozatali engedély kiadását támogató véleményéhez és az alkalmazási feltételekre vonatkozó ajánlásaihoz. A dokumentum nem tekinthető gyakorlati útmutatónak a Strimvelis alkalmazására vonatkozóan.

Amennyiben a Strimvelis alkalmazásával kapcsolatban gyakorlati információra van szüksége, olvassa el a betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

### Milyen típusú gyógyszer a Strimvelis és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Strimvelis az adenzin-deamináz hiány miatt kialakuló, súlyos, kombinált immundeficiencia (ADA-SCID) kezelésére alkalmazott gyógyszer. Az ADA-SCID egy ritka, örökletes állapot, amelynél egy változás (mutáció) lép fel abban a génben, amely az adenzin-deamináz (ADA) nevű enzim előállításához szükséges. Ennek eredményeként a betegekből hiányzik az ADA enzim. Mivel az ADA nélkülözhetetlen az egészséges limfociták (a fertőzések ellen harcoló fehérvérsejtek) fenntartásához, az ADA-SCID-ben szenvedő betegek immunrendszere nem működik megfelelően, és hatékony kezelés nélkül ritkán élnek 2 évnél tovább.

A Strimvelis-t olyan ADA-SCID-ben szenvedő betegeknél alkalmazzák, akik nem kezelhetők csontvelő transzplantációval, mert nincs alkalmas, egyező, rokon donor.

A Strimvelis a beteg saját csontvelőjéből kivont sejteket tartalmaz. Egyes sejteket (úgynevezett CD34+ sejtek) genetikailag úgy módosították, hogy azok tartalmazzanak egy működő ADA gént. A



Strimvelis a fejlett terápiás gyógyszerek egy típusa, amelyet „génterápiás gyógyszernek” neveznek. Ez a gyógyszer típus azáltal fejt ki hatását, hogy géneket juttat a szervezetbe.

Mivel az ADA-SCID-ben szenvedő betegek száma alacsony, a betegség „ritkának” minősül, ezért a Strimvelis-t 2005. augusztus 26-án „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették.

## **Hogyan kell alkalmazni a Strimvelis-t?**

A Strimvelis csak receptre kapható, és a kezelést kizárólag az ADA-SCID kezelésében és az ilyen típusú gyógyszer alkalmazásában tapasztalt orvos adhatja be egy speciális transzplantációs központban.

A Strimvelis elkészítéséhez a beteg csontvelőjéből két mintát gyűjtenek be, egyet a Strimvelis előállításához, egyet pedig tartaléknak arra az esetre, ha a Strimvelis-t nem lehet beadni vagy nem működik. A Strimvelis kizárólag ugyanannak a betegnek a kezelésére alkalmazható, akinek a csontvelőjét a gyógyszer előállításához felhasználták. A Strimvelis-t körülbelül 20 percig tartó vénás infúzióként adják be. A gyógyszer adagja a beteg testsúlyától függ.

Mielőtt beadnák a Strimvelis-t, a betegek kondicionáló (előkészítő) kezelést kapnak egy másik gyógyszerrel, buszulfánnal, hogy eltávolítsák a kóros csontvelő-sejteket. A betegek közvetlenül a kezelés előtt antihisztamin injekciót is kapnak az allergiás reakciók kockázatának csökkentése érdekében.

További információ a betegtájékoztatóban található.

## **Hogyan fejt ki hatását a Strimvelis?**

A Strimvelis elkészítéséhez a betegtől csontvelőmintát vesznek. Ezután kivonják a CD34+ sejteket (limfocitákat előállító sejtek) a csontvelősejtek közül. A CD34+ sejtekbe egy működő ADA gént illesztnek be egy vírusfajta, úgynevezett retrovírus felhasználásával, amelyet genetikailag úgy módosítottak, hogy képes az ADA gént bejuttatni a sejtekbe, és nem okoz vírusbetegséget az embernél.

Miután a Strimvelis-t intravénásan visszaadták a betegbe, az a vérárammal a csontvelőbe jut, ahol a CD34+ sejtek növekedni kezdenek és normális, ADA-t termelni képes limfocitákat képeznek. Ezek a limfociták javítják a beteg képességét a fertőzések leküzdésére, és így úrrá lesznek az állapotnak az immunrendszerrel kapcsolatos tüneteiben. A hatások várhatóan a beteg élete végéig kitartanak.

## **Milyen előnyei voltak a Strimvelis alkalmazásának a vizsgálatok során?**

A Strimvelis előnyeit egy fő vizsgálatban igazolták, amelyben 12 ADA-SCID-ben szenvedő, 6 hónapos és körülbelül 6 éves kor közötti beteg vett részt. A vizsgálatba bevont betegek számára nem volt megfelelő csontvelő donor, és az alternatív kezelés nem működött vagy nem állt rendelkezésre. Minden beteget Strimvelis-szel kezeltek, és 3 évvel a kezelést követően még életben voltak. A súlyos fertőzések gyakorisága a kezelés után csökkent, és ez a csökkenés folytatódott a 3 éven túli, hosszú távú utánkövetés során.

## **Milyen kockázatokkal jár a Strimvelis alkalmazása?**

A Strimvelis leggyakoribb mellékhatása (10 beteg közül legfeljebb egynél jelentkezhet) a láz. A Strimvelis súlyos mellékhatásai közé tartozhatnak az autoimmunitással (amikor az immunrendszer a szervezet saját sejtjeit támadja meg) kapcsolatos hatások, például a hemolitikus anémia (alacsony vörösvérsejtszám a túl gyors lebomlás miatt), aplasztikus anémia (alacsony vörösvérsejtszám a károsodott csontvelő miatt), hepatitisz (májgyulladás), trombocitopénia (alacsony vérlemezkesszám) és

a Guillain-Barré-szindróma (az idegek károsodása, amely fájdalmat, zsibbadást, izomgyengeséget és járási nehézséget eredményezhet).

A Strimvelis nem alkalmazható olyan betegeknél, akik leukémiában (a fehérvérsejtek rákja) vagy mielodiszpláziában (a csontvelő-betegségek egy típusa) szenvednek, illetve korábban ilyen betegségük volt. Nem alkalmazható olyan betegeknél, akiknél kimutatták a humán immundeficiencia vírust (HIV, az AIDS-et okozó vírus) vagy valamely más fertőzést, illetve olyan betegeknél, akik korábban génterápiában részesültek.

A Strimvelis alkalmazásával kapcsolatban jelentett korlátozások és mellékhatások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

## **Miért engedélyezték a Strimvelis forgalomba hozatalát?**

Az Ügynökséghez tartozó emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottsága (CHMP) megállapította, hogy a Strimvelis alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért javasolta a gyógyszer EU-ban való alkalmazásának jóváhagyását. A Strimvelis olyan gyógyulási lehetőséget nyújt, amely javítja az ADA-SCID-ben, egy életveszélyes állapotban szenvedő betegek immunrendszerének működését. A fő vizsgálatból származó eredmények azt mutatták, hogy a Strimvelis hatásos az ADA-SCID betegek túlélésének javításában. A biztonságosságot illetően a Strimvelis-t relatíve jól tolerálták, bár a vizsgált betegek alacsony száma miatt az adatok korlátozottak. Mivel a Strimvelis-t egy retrovírus felhasználásával állítják elő, a genetikai anyag nem szándékos módosítása által okozott rák potenciális kockázata állhat fenn, bár eddig ilyen eset nem fordult elő. Továbbá autoimmun betegségek lehetséges kockázata is fennáll. Azonban intézkedések lépnek életbe az ilyen események ellenőrzésére a gyógyszer alkalmazásakor egy betegregiszter segítségével, hogy tanulmányozzák a hosszú távú folyamatot.

## **Milyen intézkedések vannak folyamatban a Strimvelis biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?**

A Strimvelis lehető legbiztonságosabb alkalmazásának biztosítása céljából kockázatkezelési tervet dolgoztak ki. A terv alapján a Strimvelis-re vonatkozó alkalmazási előírást és betegtájékoztatót a biztonságos alkalmazással kapcsolatos információkkal egészítették ki, ideértve az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő, megfelelő óvintézkedéseket.

Ezenfelül a Strimvelis-t forgalmazó vállalat a gyógyszerre vonatkozó információkat tartalmazó oktatóanyagokat fog biztosítani a betegek és az egészségügyi szakemberek számára, és a betegeknek a kezelés megkezdése előtt egy beleegyező nyilatkozatot kell aláírniuk. A vállalat továbbá fenntartja a Strimvelis-szel kezelt betegek regiszterét, és rendszeresen ellenőrzi a fejlődésüket a kezelés után, hogy tanulmányozza a gyógyszer hosszú távú biztonságosságát.

## **A Strimvelis-szel kapcsolatos egyéb információ**

A Strimvelis-re vonatkozó teljes EPAR az Ügynökség weboldalán található: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Amennyiben a Strimvelis-szel történő kezeléssel kapcsolatban bővebb információra van szüksége, olvassa el a (szintén az EPAR részét képező) betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

A ritka betegségek gyógyszereivel foglalkozó bizottság Strimvelis-re vonatkozó véleményének összefoglalója az Ügynökség weboldalán található: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).