



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Sommarju tal-EPAR għall-pubbliku

Strimvelis

Frazzjoni awtologa taċ-ċellula arrikita CD34 + li fiha ċelluli CD34+ transdotti b'vettur retrovirali li jikkodifika għas-sekwenza ADA cDNA tal-bniedem

Dan huwa sommarju tar-rapport pubbliku Ewropew ta' valutazzjoni (EPAR) għal Strimvelis. Dan jispjega kif l-Aġenzija vvalutat il-medicina biex tirrakkomanda l-awtorizzazzjoni tiegħu fl-UE u l-kondizzjonijiet ta' użu tiegħu. Dan mhux intiż biex jipprovdi konsultazzjoni Prattika dwar l-użu ta' Strimvelis.

Għal informazzjoni Prattika dwar l-użu ta' Strimvelis, il-pazjenti għandhom jaqraw il-fuljett ta' tagħrif jew jikkuntattjaw lit-tabib jew lill-ispizjar tagħhom.

X'inhu Strimvelis u għal xiex jintuża?

Strimvelis huwa medicina uzata għal kura ta' immunodeficijenza kkombinata severa minħabba deficijenza ta' adenosine deaminase (ADA-SCID). ADA-SCID hija kundizzjoni rari li tintiret fejn hemm bidla (mutazzjoni) fil-gene meħtieġ sabiex tiġi prodotta enzima li tissejjaħ adenosine deaminase (ADA). Minħabba f'hekk, il-pazjenti għandhom nuqqas ta' enzima ADA. Minħabba li ADA hija essenzjali għall-manteniment ta' limfoċiti f'saħħithom (ċelluli bojod tad-demm li jiġġieldu l-infezzjonijiet), is-sistema immunitarja tal-pazjenti b'ADA-SCID ma taħdimx kif suppost u mingħajr kura effettiva dawn rari jgħixu għal aktar minn sentejn.

Strimvelis jintuża f'pazjenti b'ADA-SCID li ma jistgħux jiġu kkurati bi trapjant tal-mudullun minħabba li m'għandhomx donatur xieraq, li jaqbel magħhom u li jiġi minnhom.

Strimvelis fiha ċelluli miksuba mill-mudullun tal-pazjent stess. Xi wħud miċ-ċelluli (li jissejju ċelluli CD34+) ġew modifikati ġenetikament sabiex ikollhom gene li jaħdem għal ADA. Strimvelis huwa tip ta' medicina ta' terapija avvanzata msejja 'prodott ta' terapija tal-ġeni'. Din it-tip ta' medicina taħdem billi twassal il-ġeni fil-ġisem.



Minhabba li n-numru ta' pazjenti b'ADA-SCID huwa wiehed baxx, il-marda hija meqjusa bhala 'rari', u Strimvelis gie denominat bhala 'medicina orfni' (medicina uzata f'mard rari) fis-26 ta' Awwissu 2005.

Kif jintuza Strimvelis?

Strimvelis jista' jinkiseb biss b'ricetta tat-tabib u l-kura ghandha tinghata biss f'centru tat-trapjant speċjalizzat, minn tabib b'esperjenza minn qabel fil-kura ta' ADA-SCID u l-użu ta' dan it-tip ta' medicina.

Sabiex jithejja Strimvelis, zewg kampjuni tal-mudullun tal-pazjent huma migbura, wiehed sabiex isir Strimvelis u wiehed li jinżamm bhala rizerva f'kaz li Strimvelis ma jistax jinghata jew ma jaħdimx. Strimvelis jista' jintuza biss sabiex jikkura l-istess pazjent li l-mudullun tiegħu ntuza sabiex issir il-medicina. Strimvelis jinghata bhala infużjoni (dripp) gol-vina fuq perjodu ta' madwar 20 minuta. Id-doża tiddependi mill-piż tal-gisem tal-pazjent.

Qabel ma jinghataw Strimvelis, il-pazjenti jircievu kura ta' kundizzjonar (ta' thejjija) b'medicina oħra, busulfan, sabiex jitneħhilhom iċ-ċelluli tal-mudullun anormali tagħhom. Il-pazjenti jinghataw injezzjoni antistamina eżatt qabel il-kura sabiex jitnaqqas ir-riskju ta' reazzjonijiet allergiċi.

Għal aktar informazzjoni, ara l-fuljett ta' tagħrif.

Kif jaħdem Strimvelis?

Sabiex jiġi prodott Strimvelis, jingabar kampjun tal-mudullun tal-pazjent. Imbagħad, iċ-ċelluli CD34+ (iċ-ċelluli li jagħmlu l-limfoċiti) jiġu estratti miċ-ċelluli tal-mudullun. Ġene li jaħdem għal ADA jiddaħhal fiċ-ċelluli CD34+ bl-użu ta' tip ta' virus li jissejjaħ retrovirus, li gie mibdul ġenetikament sabiex ikun jista' jgħorr il-ġene ADA fiċ-ċelluli u ma jikkawżax mard virali fil-bnedmin.

Ladarba jinghata lura lill-pazjent gol-vina, Strimvelis huwa ttrasportat fiċ-ċirkolazzjoni tad-demem għal mudullun fejn iċ-ċelluli CD34+ jibdeu jikbru u jagħmlu limfoċiti normali li jistgħu jipproduċu ADA. Dawn il-limfoċiti jtejbu l-ħila tal-pazjent sabiex jiġġieled l-infezzjoni, u b'hekk jegħlbu s-sintomi tal-kundizzjoni relatata mas-sistema immunitarja. L-effetti huma mistennija li jdumu għall-ħajja kollha tal-pazjent.

X'inhuma l-benefiċċji ta' Strimvelis li ħarġu mill-istudji?

Il-benefiċċji ta' Strimvelis ġew murija fi studju ewlieni wiehed li involva 12-il pazjent minn 6 xhur għal madwar 6 snin b'ADA-SCID. Il-pazjenti fl-istudju ma kellhomx donatur xieraq tal-mudullun u l-kura alternattiva ma ħadmitx jew ma kinitx disponibbli. Il-pazjenti kollha kienu kkurati bi Strimvelis u kien għadhom ħajjin 3 snin wara l-kura. Ir-rata ta' infezzjonijiet severa naqset wara l-kura u baqgħet tonqos wara segwitu aktar fit-tul lil hinn minn 3 snin.

X'inhuma r-riskji assoċjati ma' Strimvelis?

L-effett sekondarju l-aktar komuni bi Strimvelis (li jistgħu jaffetwaw sa persuna minn kull 10) huwa d-deni. L-effetti sekondarji serji bi Strimvelis jistgħu jinkludu effetti marbuta mal-awtoimmunità (meta s-sistema immuni tattakka iċ-ċelluli tal-gisem stess) bħal anemija emolitika (għadd baxx ta' ċelluli ħomor tad-demem minhabba t-tkissir malajr ħafna tagħhom), anemija aplastika (għadd baxx ta' ċelluli tad-demem minhabba ħsara fil-mudullun), epatite (infjammazzjoni tal-fwied), trombocitopenija (għadd baxx ta' plejtlits tad-demem) u sidrome ta' Guillain-Barré (ħsara lin-nervaturi li tista' twassal għal uġiġh, tnemnim, dgħufija fil-muskoli u diffikultà biex timxi).

Strimvelis m'għandux jintuża f'pazjenti li għandhom il-lewkimja (kanċer taċ-ċelluli bojod tad-demem) jew majelodisplażja (tip ta' disturb tal-mudullun) jew li kellhom dawn il-kundizzjonijiet fil-passat. M'għandux jintuża f'pazjenti li rriżultaw pożittivi għal virus tal-immunodeficijenza umana (HIV, il-virus li jikkawża l-AIDS) jew xi infezzjonijiet oħrajn, jew f'pazjenti li kellhom terapija tal-ġeni qabel.

Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji kollha rrapportati bi Strimvelis, ara l-fuljett ta' tagħrif.

Għaliex ġie approvat Strimvelis?

Il-Kumitat għall-Prodotti Medċinali għall-Użu mill-Bniedem (CHMP) iddeċieda li l-benefiċċji ta' Strimvelis huma akbar mir-riskji tiegħu u rakkomanda li jkun approvat għall-użu fl-UE. Strimvelis jipprovdi l-opportunità ta' kura li ttejjeb il-ħidma tas-sistema immuni għal pazjenti b'ADA-SCID, li hija kundizzjoni ta' theddida għall-ħajja. Ir-riżultati mill-istudju ewlieni juru li Strimvelis huwa effettiv fit-titjib tas-sopravivenza tal-pazjenti ADA-SCID. Rigward is-sigurtà, Strimvelis kien tollerat pjuttost tajjeb għalkemm id-data hija limitata minħabba n-numru żgħir ta' pazjenti studjati. Minħabba li Strimvelis huwa prodott bl-użu ta' retrovirus, jista' jkun hemm il-potenzjal ta' riskju ta' kanċer ikkawżat minn tibdiliet mhux intenzjonati fil-materjal ġenetiku, għalkemm ma ġewx irrapportati każijiet bħal dawn s'issa. Hemm ukoll il-potenzjal ta' riskju ta' mard awtoimmuni. Madankollu, hemm miżuri fis-seħħ sabiex jimmonitorjaw avvenimenti bħal dawn ladarba l-mediċina tibda tintuża permezz tal-użu ta' registru ta' pazjenti sabiex jiġi studjat il-progress fit-tul tagħhom.

X'miżuri qegħdin jittiehdu biex jiġi żgurat l-użu sigur u effettiv ta' Strimvelis?

Ġie żviluppat pjan ta' ġestjoni tar-riskju biex jiġi żgurat li Strimvelis jintuża bl-aktar mod sigur possibbli. Abbażi ta' dan il-pjan, fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u l-fuljett ta' tagħrif ġiet inkluża informazzjoni rigward is-sigurtà ta' Strimvelis, inklużi l-prekawzjonijiet xierqa li għandhom ikunu segwiti mill-professjonisti tal-kura tas-saħħa u l-pazjenti.

Barra minn hekk, il-kumpanija li tagħmel Strimvelis ser tipprovdi materjal edukattiv għal pazjenti u l-professjonisti tal-kura tas-saħħa b'informazzjoni dwar il-mediċina, u l-pazjenti jridu jiffirmaw formola ta' kunsens qabel ma tinbeda l-kura. Il-kumpanija ser iżzomm ukoll registru ta' pazjenti kkurati bi Strimvelis u timmonitorja l-progress tagħhom b'mod regolari wara l-kura sabiex tistudja s-sigurtà fit-tul tal-mediċina.

Informazzjoni oħra dwar Strimvelis

L-EPAR sħiħ għal Strimvelis jinstab fis-sit elettroniku tal-Aġenzija: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Għal aktar informazzjoni rigward il-kura bi Strimvelis, aqra l-fuljett ta' tagħrif (parti wkoll mill-EPAR) jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispjżjar tiegħek.

Is-sommarju tal-opinjoni tal-Kumitat għall-Prodotti Medċinali Orfni għal Strimvelis jinstab fis-sit elettroniku tal-Aġenzija: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).