



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Streszczenie EPAR dla ogółu społeczeństwa

Strimvelis

Autologiczna frakcja komórkowa zawierająca komórki CD34+ transdukowane wektorem retrowirusowym zawierającym ludzką sekwencję cDNA ADA

Niniejszy dokument jest streszczeniem Europejskiego Publicznego Sprawozdania Oceniającego (EPAR) dotyczącego leku Strimvelis. Wyjaśnia, jak Agencja oceniła lek w celu przyjęcia zaleceń w sprawie przyznania pozwolenia na dopuszczenie produktu do obrotu w UE oraz warunków jego stosowania. Jego celem nie jest zapewnienie praktycznej porady dotyczącej stosowania leku Strimvelis.

W celu uzyskania praktycznych informacji na temat stosowania leku Strimvelis należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

Co to jest produkt Strimvelis i w jakim celu się go stosuje?

Strimvelis jest lekiem stosowanym w leczeniu ciężkiego, złożonego niedoboru odporności wynikającego z niedoboru deaminazy adenozykowej (ADA-SCID). ADA-SCID jest rzadkim, dziedzicznym schorzeniem, w którym występuje zmiana (mutacja) genu potrzebnego do produkcji enzymu zwanego deaminazą adenozykową (ADA). W rezultacie u pacjentów brakuje enzymu ADA. Ponieważ ADA jest niezbędna do utrzymania zdrowych limfocytów (krwinek białych zwalczających zakażenia), układ odpornościowy pacjentów z ADA-SCID nie działa prawidłowo i bez skutecznego leczenia pacjenci ci rzadko przeżywają więcej niż 2 lata.

Lek Strimvelis jest stosowany u pacjentów z ADA-SCID, którzy nie mogą być leczeni metodą przeszczepu szpiku kostnego z uwagi na brak odpowiedniego, dopasowanego, spokrewnionego dawcy.

Strimvelis zawiera komórki pochodzące z własnego szpiku kostnego pacjenta. Niektóre z komórek (zwane komórkami CD34+) zostały zmodyfikowane genetycznie, dzięki czemu zawierają działający gen ADA. Strimvelis jest rodzajem leku do leczenia zaawansowanego, zwanym „produktem terapii genowej”. Ten rodzaj leku działa poprzez dostarczanie genów do organizmu.



Ze względu na małą liczbę pacjentów z ADA-SCID, choroba ta jest uważana za rzadko występującą, zatem w dniu 26 sierpnia 2005 r. produkt Strimvelis uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach).

Jak stosować produkt Strimvelis?

Lek Strimvelis wydaje się wyłącznie z przepisu lekarza, a leczenie nim powinno być prowadzone wyłącznie w specjalistycznym ośrodku transplantologicznym, przez lekarza mającego doświadczenie w leczeniu ADA-SCID i w stosowaniu tego typu leków.

W celu przygotowania leku Strimvelis pobierane są dwie próbki szpiku kostnego pacjenta, jedną w celu sporządzenia leku Strimvelis i drugą do zachowania jako rezerwa na wypadek, gdyby nie można było podać leku Strimvelis lub gdyby lek ten nie zadziałał. Lek Strimvelis może być stosowany do leczenia wyłącznie tego pacjenta, którego szpik kostny użyto do jego sporządzenia. Strimvelis podaje się we wlewie dożylnym (kroplówce) trwającym 20 minut. Dawka zależy od masy ciała pacjenta.

Przed podaniem leku Strimvelis pacjentów poddaje się terapii kondycjonującej (przygotowawczej) innym lekiem, busulfanem, aby pozbyć się ich nieprawidłowych komórek szpiku kostnego. Pacjentom podaje się też zastrzyk leku przeciwhistaminowego tuż przed leczeniem, w celu zmniejszenia ryzyka reakcji alergicznych.

Więcej informacji znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Jak działa produkt Strimvelis?

W celu sporządzenia leku Strimvelis pobiera się próbkę szpiku kostnego pacjenta. Następnie przeprowadza się ekstrakcję komórek CD34+ (komórek, z których mogą powstawać limfocyty) z komórek szpiku kostnego. Do komórek CD34+ wprowadzany jest prawidłowo działający gen ADA, przy użyciu rodzaju wirusa zwanego retrowirusem, który został zmieniony genetycznie, tak aby mógł przenosić gen ADA do komórek i nie powodował choroby wirusowej u ludzi.

Po wstrzyknięciu do żyły pacjenta lek Strimvelis jest przenoszony we krwi do szpiku kostnego, w którym komórki CD34+ zaczynają rosnąć i tworzyć prawidłowe limfocyty, które mogą produkować ADA. Te limfocyty poprawiają zdolność pacjenta do zwalczania zakażeń, czyli pokonują objawy schorzenia związanego z układem immunologicznym. Oczekuje się, że to działanie będzie się utrzymywać przez całe życie pacjenta.

Jakie korzyści ze stosowania produktu Strimvelis zaobserwowano w badaniach?

Korzyści ze stosowania leku Strimvelis wykazano w jednym badaniu głównym z udziałem 12 pacjentów w wieku od 6 miesięcy do około 6 lat z ADA-SCID. Pacjenci biorący udział w badaniu nie mieli właściwego dawcy szpiku kostnego i alternatywne leczenie było u nich nieskuteczne lub niedostępne. Wszyscy pacjenci byli leczeni produktem Strimvelis i pozostawali przy życiu 3 lata po jego zastosowaniu. Częstość występowania ciężkich zakażeń uległa po leczeniu zmniejszeniu i dalej zmniejszała się w trakcie obserwacji w dłuższym okresie po upływie 3 lat.

Jakie ryzyko wiąże się ze stosowaniem produktu Strimvelis?

Najczęstszym działaniem niepożądanym związanym ze stosowaniem leku Strimvelis (mogącym wystąpić u 1 osoby na 10) jest gorączka. Do ciężkich działań niepożądanych związanych ze stosowaniem leku Strimvelis mogą należeć powikłania autoimmunologiczne (gdy układ odpornościowy atakuje własne komórki organizmu), takie jak niedokrwistość hemolityczna (mała liczba krwinek

czerwonych z powodu ich zbyt szybkiego rozpadu), niedokrwistość aplastyczna (mała liczba krwinek z powodu uszkodzenia szpiku kostnego), zapalenie wątroby, małopłytkowość (mała liczba płytek krwi) and zespół Guillaina-Barrégo (uszkodzenie nerwów, które może prowadzić do bólu, drętwienia, osłabienia mięśni i trudności z chodzeniem).

Leku Strimvelis nie wolno stosować u pacjentów z białaczką (nowotwór krwinek białych) lub mielodysplazją (rodzaj zaburzenia szpiku kostnego) aktualnie lub w przeszłości. Nie może być stosowany u pacjentów z dodatnim wynikiem badania w kierunku zakażenia ludzkim wirusem upośledzenia odporności (HIV, wirus powodujący AIDS) lub z pewnymi innymi zakażeniami, a także u pacjentów, u których stosowano terapię genową w przeszłości.

Pełny wykaz ograniczeń i działań niepożądanych związanych ze stosowaniem produktu Strimvelis znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Na jakiej podstawie zatwierdza się produkt Strimvelis?

Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) Agencji uznał, że korzyści płynące ze stosowania produktu Strimvelis przewyższają ryzyko, i zalecił jego dopuszczenie do stosowania w UE. Strimvelis zapewnia możliwość leczenia poprawiającego funkcjonowanie układu odpornościowego u pacjentów z ADA-SCID, który jest stanem zagrażającym życiu. Wyniki badania głównego pokazują, że skutecznie poprawia przeżycie pacjentów z ADA-SCID. Jeśli chodzi o bezpieczeństwo lek Strimvelis był względnie dobrze tolerowany, chociaż dane są ograniczone z powodu niewielkiej liczby badanych pacjentów. Ponieważ lek Strimvelis jest produkowany z użyciem retrowirusa, może istnieć potencjalne ryzyko nowotworu spowodowanego niezamierzonymi zmianami materiału genetycznego, chociaż dotychczas nie obserwowano takich przypadków. Istnieje również potencjalne ryzyko choroby autoimmunologicznej. Istnieją jednak środki monitorowania takich zdarzeń po wprowadzeniu leku do użycia, poprzez stosowanie rejestru pacjentów, który pozwoli na badanie przebiegu ich stanu w dłuższym okresie.

Jakie środki są podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania produktu Strimvelis?

W celu zapewnienia możliwie najbezpieczniejszego stosowania produktu Strimvelis opracowano plan zarządzania ryzykiem. W oparciu o ten plan w charakterystyce produktu leczniczego i ulotce dla pacjenta dotyczących produktu Strimvelis zawarto informacje dotyczące bezpieczeństwa, w tym odpowiednie środki ostrożności obowiązujące personel medyczny i pacjentów.

Dodatkowo firma produkująca produkt Strimvelis dostarczy materiały edukacyjne dla pacjentów i personelu medycznego, z informacjami na temat leku, a pacjenci będą musieli podpisać formularz zgody przed rozpoczęciem leczenia. Firma będzie także prowadzić rejestr pacjentów leczonych produktem Strimvelis i będzie regularnie monitorować ich stan po leczeniu, aby badać bezpieczeństwo stosowania leku w długim okresie.

Inne informacje dotyczące produktu Strimvelis:

Pełne sprawozdanie EPAR dotyczące produktu Strimvelis znajduje się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. W celu uzyskania dodatkowych informacji dotyczących leczenia produktem Strimvelis należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta (także część EPAR) bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

Streszczenie opinii Komitetu ds. Sierocych Produktów Leczniczych dotyczącej produktu Strimvelis znajduje się na stronie internetowej Agencji: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).