



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Súhrn správy EPAR pre verejnosť

Strimvelis

Autológna bunková frakcia obohatená o CD34+ bunky, ktorá obsahuje CD34+ bunky transdukované retrovírusovým vektorom, ktorý kóduje sekvenciu cDNA ľudskej ADA

Tento dokument je súhrn Európskej verejnej hodnotiacej správy (EPAR) o lieku Strimvelis. Vysvetľuje, akým spôsobom agentúra vyhodnotila liek s cieľom odporučiť jeho povolenie na uvedenie na trh v EÚ a podmienky jeho používania. Účelom tohto dokumentu nie je poskytnúť praktické rady o tom, ako používať liek Strimvelis.

Ak pacienti potrebujú praktické informácie o používaní lieku Strimvelis, nájdu ich v písomnej informácii pre používateľa alebo sa môžu obrátiť na svojho ošetrojúceho lekára, resp. lekárnik.

Čo je liek Strimvelis a na čo sa používa?

Liek Strimvelis sa používa na liečbu závažnej kombinovanej imunitnej nedostatočnosti zapríčinennej nedostatkom adenozyndeaminázy (ADA-SCID). ADA-SCID je zriedkavá dedičná porucha, pri ktorej je zmenený (mutovaný) gén potrebný na vytváranie enzýmu, ktorý sa nazýva adenozyndeamináza (ADA). Výsledkom je, že pacienti nemajú enzým ADA. Keďže enzým ADA je nevyhnutný na udržanie zdravých lymfocytov (bielych krviniek, ktoré bojujú proti infekciám), imunitný systém pacientov s ADA-SCID nefunguje náležite a bez účinnej liečby prežívajú sotva dlhšie ako dva roky.

Liek Strimvelis sa používa u pacientov s ADA-SCID, ktorí nemôžu byť liečení transplantáciou kostnej drene, pretože nemajú vhodného, zodpovedajúceho príbuzného darcu.

Liek Strimvelis obsahuje bunky odvodené z kostnej drene pacienta. Niektoré bunky (nazývané CD34+ bunky) boli geneticky modifikované tak, aby obsahovali funkčný gén pre ADA. Liek Strimvelis je druh lieku na inovatívnu liečbu a označuje sa ako tzv. liek na génovú terapiu. Ide o druh lieku, ktorý účinkuje tak, že telu dodáva gény.



Kedže je počet pacientov s ochorením ADA-SCID nízky, ochorenie sa považuje za zriedkavé, a preto bol liek Strimvelis 26. augusta 2005 označený za liek na zriedkavé ochorenia.

Ako sa liek Strimvelis používa?

Výdaj lieku Strimvelis je viazaný na lekársky predpis a liečbu má podávať iba v špecializovanom transplantáčnom centre lekár, ktorý má skúsenosti s liečbou ADA-SCID a s používaním tohto druhu lieku.

Na prípravu lieku Strimvelis sa odoberú dve vzorky kostnej drene pacienta, jedna na prípravu lieku Strimvelis a druhá sa uchováva ako záloha v prípade, že liek Strimvelis nemôže byť podaný alebo neúčinkuje. Liek Strimvelis sa môže použiť len na liečbu rovnakého pacienta, ktorého kostná dreň bola použitá na prípravu lieku. Liek Strimvelis sa podáva vo forme infúzie (kvapkania) do žily v trvaní asi 20 minút. Dávka závisí od telesnej hmotnosti pacienta.

Pred podaním lieku Strimvelis pacienti dostanú kondicionačnú (prípravnú) liečbu iným liekom, busulfánom, aby sa zbavili abnormálnych buniek kostnej drene. Pacienti dostanú tesne pred liečbou aj injekciu antihistaminika na zníženie rizika alergických reakcií.

Viac informácií sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Akým spôsobom liek Strimvelis účinkuje?

Na prípravu lieku Strimvelis sa odoberie vzorka kostnej drene pacienta. Potom sa z buniek kostnej drene extrahujú CD34+ bunky (bunky, ktoré môžu vytvárať lymfocyty). Funkčný gén pre ADA je vložený do CD34+ buniek pomocou druhu vírusu, ktorý sa nazýva retrovírus, ktorý bol geneticky zmenený tak, že môže zaviesť gén pre ADA do buniek, pričom nespôsobí u ľudí vírusové ochorenie.

Keď je liek Strimvelis podaný späť pacientovi do žily, krvným obehom sa dostane do kostnej drene, kde CD34+ bunky začnú rásť a vytvárať normálne lymfocyty, ktoré sú schopné vytvárať ADA. Tieto lymfocyty zlepšujú schopnosť pacienta bojovať proti infekcii, a tak prekonať príznaky stavu súvisiaceho s imunitným systémom. Predpokladá sa, že účinok lieku bude pretrvávať počas celého života pacienta.

Aké prínosy lieku Strimvelis boli preukázané v štúdiách?

Prínosy lieku Strimvelis sa preukázali v jednej hlavnej štúdii, ktorej sa zúčastnilo 12 pacientov od šiestich mesiacov asi do šiestich rokov s ADA-SCID. Pacienti v štúdii nemali vhodného darcu kostnej drene a alternatívna liečba neúčinkovala alebo nebola k dispozícii. Všetci pacienti boli liečení liekom Strimvelis a tri roky po liečbe boli stále nažive. Miera závažných infekcií po liečbe klesla a pri sledovaní dlhšom ako tri roky naďalej klesala.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Strimvelis?

Najčastejší vedľajší účinok lieku Strimvelis (ktorý môže postihnúť až jednu osobu z desiatich) je pyrexia (horúčka). Závažné vedľajšie účinky lieku Strimvelis môžu zahŕňať účinky súvisiace s autoimunitou (ak imunitný systém napáda vlastné bunky tela), ako je hemolytická anémia (nízky počet červených krviniek v dôsledku ich príliš rýchleho rozpadu), aplastická anémia (nízky počet krvných buniek zapríčinený poškodením kostnej drene), hepatitída (zápal pečene), trombocytopenia (nízky počet krvných doštičiek) a Guillainov-Barrého syndróm (poškodenie nervov, ktoré môže viesť k bolesti, necitlivosti, svalovej slabosti a problémom s chôdzou).

Liek Strimvelis sa nesmie používať u pacientov, ktorí majú leukémiu (rakovinu bielych krviniek) alebo myelodyspláziu (druh poruchy kostnej drene) alebo trpeli týmito ochoreniami v minulosti. Liek sa

nesmie používať u pacientov, ktorí majú pozitívny test na ľudský vírus imunitnej nedostatočnosti (HIV, vírus spôsobujúci AIDS) alebo niektoré iné infekcie, ani u pacientov, ktorí v minulosti boli liečení génovou terapiou.

Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Strimvelis a všetkých obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Prečo bol liek Strimvelis povolený?

Výbor pre lieky na humánne použitie (CHMP) agentúry rozhodol, že prínosy lieku Strimvelis sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním a odporučil udeliť povolenie na jeho používanie v EÚ. Liek Strimvelis poskytuje možnosť liečby, ktorá zlepšuje činnosť imunitného systému pre pacientov s ADA-SCID, čo je život ohrozujúci stav. Výsledky hlavnej štúdie dokazujú, že liek Strimvelis je účinný pri zlepšení prežitia pacientov s ADA-SCID. Pokiaľ ide o bezpečnosť, liek Strimvelis bol pomerne dobre znášaný, aj keď údaje sú obmedzené z dôvodu malého počtu skúmaných pacientov. Keďže liek Strimvelis sa vyrába pomocou retrovírusu, mohlo vzniknúť riziko rakoviny zapríčinené nežiaducimi zmenami v genetickom materiáli, hoci doteraz sa nepozorovali žiadne takéto prípady. Existuje aj potenciálne riziko autoimunitného ochorenia. Sú však zavedené opatrenia na monitorovanie takýchto udalostí, akonáhle sa liek začne používať, a to na základe registra pacientov na skúmanie ich dlhodobého pokroku.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Strimvelis?

Na zaistenie čo najbezpečnejšieho používania lieku Strimvelis bol vypracovaný plán riadenia rizík. Na základe tohto plánu boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté informácie o bezpečnosti lieku Strimvelis vrátane príslušných opatrení, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Spoločnosť, ktorá liek Strimvelis vyrába, poskytne aj vzdelávacie materiály pre pacientov a zdravotníckych pracovníkov obsahujúce informácie o lieku a pacienti budú musieť pred začatím liečby podpísať formulár súhlasu. Spoločnosť bude tiež viesť register pacientov liečených liekom Strimvelis a bude pravidelne monitorovať ich pokrok po liečbe na preskúmanie dlhodobej bezpečnosti lieku.

Ďalšie informácie o lieku Strimvelis

Úplné znenie správy EPAR o lieku Strimvelis sa nachádza na webovej stránke agentúry: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Ak potrebujete ďalšie informácie o liečbe liekom Strimvelis, prečítajte si písomnú informáciu pre používateľa (súčasť správy EPAR) alebo sa obráťte na svojho ošetrojúceho lekára, resp. lekárnik.

Súhrn stanoviska Výboru pre lieky na ojedinelé ochorenia k lieku Strimvelis sa nachádza na webovej stránke agentúry: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.