



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/854121/2022
EMA/H/C/004480

Yescarta (*axikabtagen ciloleucel*)

A Yescarta-ra vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

Milyen típusú gyógyszer a Yescarta és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Yescarta felnőtteknél a vérképzőszervi daganatok bizonyos típusainak kezelésére alkalmazott gyógyszer:

- magas malignitású B-sejtes limfóma (HGBL);
- diffúz nagy B-sejtes limfóma (DLBCL);
- primer mediastinális nagy B-sejtes limfóma (PMBCL);
- follikuláris limfóma (FL).

A Yescarta olyan betegek kezelésére szolgál, akiknek a vérképzőszervi daganata kiújult (relapszált) vagy már nem reagál a korábbi kezelésre (refrakter).

A Yescarta a fejlett terápiás gyógyszerek egy típusa, amelyet „génterápiás gyógyszernek” neveznek. Ez a gyógyszertípus azáltal fejti ki hatását, hogy géneket juttat a szervezetbe.

Mivel a Yescarta-val kezelt vérképzőszervi daganatok „ritkának” minősülnek, ezért a Yescarta-t a DLBCL esetében [2014. december 16-án](#), a PMBCL esetében [2015. október 9-én](#), az FL esetében pedig [2015. november 11-én](#) „ritka betegségek elleni gyógyszerré” (orphan drug) minősítették.

A Yescarta hatóanyaga az axikabtagen ciloleucel (amely genetikailag módosított fehérvérsejtekből áll).

Hogyan kell alkalmazni a Yescarta-t?

A Yescarta-t a beteg véréből kivont, laboratóriumban genetikailag módosított saját fehérvérsejtjeiből állítják elő, majd adják be a betegnek.

Egyetlen intravénás infúzió formájában alkalmazzák, és csak az a beteg kaphatja meg, akitől a gyógyszer előállításához felhasznált sejtek származnak. A Yescarta alkalmazása előtt a betegnek rövid kemoterápiás kezeléssel át kell esnie meglévő fehérvérsejtjei eltávolítása céljából, és közvetlenül az

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



infúzió beadása előtt paracetamolt és antihisztamint kell kapnia az infúzióra adott reakciók kockázatának csökkentése érdekében.

A tocilizumab nevű gyógyszernek (vagy annak hiány miatti elérhetetlensége esetén megfelelő alternatívának) és sürgősségi felszerelésnek kell rendelkezésre állnia arra az esetre, ha a betegnél a citokin felszabadulási szindróma nevű, potenciálisan súlyos mellékhatás jelentkezne (lásd a kockázatokról szóló alábbi részt).

A mellékhatások észlelése érdekében a betegeket a kezelés után 10 napig szoros megfigyelés alatt kell tartani, és a kezelés után legalább 4 hétig ajánlott szakellátást végző kórház közelében tartózkodniuk.

A Yescarta alkalmazásával kapcsolatban további információért olvassa el a betegtájékoztatót, illetve kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

Hogyan fejt ki hatását a Yescarta?

A Yescarta a beteg saját T-sejtjeit tartalmazza (a fehérvérsejtek egy típusa), melyeket laboratóriumban genetikailag módosítottak, hogy egy kiméra antigénreceptor (CAR) nevű fehérjét állítsanak elő. A CAR a daganatos sejtek felületén egy CD19 nevű másik fehérjéhez kapcsolódik.

Amikor a Yescarta-t beadják a betegnek, a módosított T-sejtek hozzákapcsolódnak a daganatos sejtekhez és elpusztítják őket, így segítve elő, hogy a daganat eltűnjön a szervezetből.

Milyen előnyei voltak a Yescarta alkalmazásának a vizsgálatok során?

Magas malignitású B-sejtes limfóma (HGBL) és diffúz nagy B-sejtes limfóma (DLBCL) egy kezelési ciklust követően

Egy fő vizsgálat, amelyet 359 olyan, HGBL-ben vagy DLBCL-ben szenvedő beteg bevonásával végeztek, akiknek a betegsége egy korábbi kezelésre nem reagált vagy azt követően egy éven belül kiújult, igazolta, hogy a Yescarta hatásos egy bizonyos esemény (a betegség súlyosbodása, új limfómaterápia megkezdése vagy elhalálozás) bekövetkezéséig eltelt idő meghosszabbításában. A Yescarta-val kezelt betegeknek átlagosan körülbelül 8 hónapig nem következett be ilyen esemény, míg a standard daganatellenes kezelésben részesült betegeknek ez az időtartam 2 hónap volt. Emellett a Yescarta-val kezelt betegek 41%-ánál 24 hónapos kezelést követően nem következett be ilyen esemény, szemben a standard kezelésben részesült betegek 16%-ával.

Diffúz nagy B-sejtes limfóma (DLBCL) és primer mediastinális nagy B-sejtes limfóma (PMBCL) legalább két kezelési ciklust követően

Egy 111, két korábbi kezelésre nem reagáló vagy kiújuló DLBCL-ben vagy PMBCL-ben szenvedő beteg részvételével végzett fő vizsgálat kimutatta, hogy a Yescarta sok beteg esetében hatékonyan szünteti meg a daganatot. A Yescarta-val végzett kezelést követően a vizsgálatban részt vevő betegek 47%-a teljes terápiás választ (ez azt jelenti, hogy nem voltak jelei a daganat visszamaradásának), 66%-a pedig legalább részleges terápiás választ adott.

Ezek az eredmények jobbak voltak azon vizsgálatok eredményeinél, melyek során a betegek standard daganatellenes kezelésben részesültek, és mintegy 7%-uk teljes, 26%-uk pedig legalább részleges terápiás választ adott.

Folikuláris limfóma (FL) legalább három kezelési ciklust követően

Egy 75, legalább három korábbi kezelésre nem reagáló vagy kiújuló FL-ben szenvedő beteg részvételével végzett fő vizsgálat kimutatta, hogy a Yescarta sok beteg esetében hatékonyan szünteti meg a daganatot. A betegek 91%-a reagált a kezelésre, 77%-uknál alakult ki teljes terápiás válasz.

Ezek az eredmények jobbak voltak, mint az FL standard kezelésében részesülő betegekkel végzett vizsgálatok eredményei.

Milyen kockázatokkal jár a Yescarta alkalmazása?

Súlyos mellékhatások 2 beteg közül körülbelül 1-nél jelentkezhetnek. A leggyakoribb súlyos mellékhatások a citokin felszabadulási szindróma (egy potenciálisan életveszélyes állapot, amely lázzal, hányással, légszomjjal, fájdalommal és alacsony vérnyomással járhat), az enkefalopátia (fejfájással, aluszékonysággal és mentális zavarral járó agyi rendellenesség) és a fertőzések.

A Yescarta nem alkalmazható a gentamicinre (egyfajta antibiotikum) allergiás betegeknél. A Yescarta alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Miért engedélyezték a Yescarta forgalomba hozatalát az EU-ban?

Egy fő vizsgálat igazolta, hogy a Yescarta sok, a korábbi kezelésre nem reagáló vagy kiújuló DLBCL-ben, HGBL-ben vagy PMBCL-ben szenvedő beteg esetében hatékonyan távolítja el a daganatot. A daganatmentessé váló vagy legalább részleges terápiás választ adó betegek száma magasabb volt a standard kezelésben részesülő betegekhez képest. Egy másik vizsgálat azt is kimutatta, hogy a gyógyszer sok, legalább három korábbi kezelést követően nem reagáló vagy kiújuló FL-ben szenvedő betegnél hatékonyan távolítja el a daganatot.

A súlyos mellékhatások, különösen a citokin felszabadulási szindróma, gyakoriak a Yescarta-val kezelt betegeknél; ezek azonban megfelelő intézkedésekkel kezelhetők (lásd alább). Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a Yescarta alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Yescarta biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Yescarta-t forgalmazó vállalatnak gondoskodnia kell arról, hogy a Yescarta-t alkalmazó kórházak megfelelő szakértelemmel, felszerelésekkel és képzéssel rendelkezzenek. A tocilizumabnak vagy megfelelő alternatívájának citokin felszabadulási szindróma esetére rendelkezésre kell állnia. A lehetséges mellékhatásokkal, különösen a citokin felszabadulási szindrómával kapcsolatban a vállalatnak oktatóanyagokat kell biztosítania az egészségügyi szakemberek és a betegek számára.

A vállalatnak ezen kívül a Yescarta hosszú távú biztonságosságával kapcsolatos további információk megszerzése érdekében vizsgálatot kell végeznie.

A Yescarta biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések szintén feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

A Yescarta alkalmazásával kapcsolatban felmerülő információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan figyelemmel kísérik. A Yescarta alkalmazásával összefüggésben jelentett mellékhatásokat gondosan értékelik és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

A Yescarta-val kapcsolatos egyéb információ

2018. augusztus 23-án a Yescarta az Európai Unió egész területére érvényes forgalombahozatali engedélyt kapott.

A Yescarta-val kapcsolatban további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található:
ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/yescarta.

Az áttekintés utolsó aktualizálása: 11-2022.