



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/495475/2018
EMA/H/C/004480

Yescarta (*axicabtagene ciloleuce*)

Sintesi di Yescarta e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Cos'è Yescarta e per cosa si usa?

Yescarta è un medicinale per il trattamento di due tipi di cancro del sangue:

- linfoma diffuso a grandi cellule B (DLBCL);
- linfoma primitivo del mediastino a grandi cellule B (PMBCL).

Yescarta è indicato per il trattamento di pazienti adulti con cancro del sangue che hanno manifestato recidiva o hanno smesso di rispondere al trattamento.

Yescarta è un tipo di medicinale per terapia avanzata denominato "prodotto di terapia genica", ossia un tipo di medicinale che agisce introducendo geni nell'organismo.

Le forme di cancro del sangue trattate con Yescarta sono rare e Yescarta è stato definito come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) per DLBCL il [16 dicembre 2014](#) e per PMBCL il [9 ottobre 2015](#).

Yescarta contiene il principio attivo axicabtagene ciloleuce (a base di globuli bianchi geneticamente modificati).

Come si usa Yescarta?

Yescarta è preparato utilizzando i globuli bianchi del paziente, che sono estratti dal sangue e geneticamente modificati in laboratorio.

Viene somministrato sotto forma di infusione singola (goccia a goccia) in vena ed esclusivamente al paziente le cui cellule sono state utilizzate per produrlo. Prima di assumere Yescarta, il paziente deve sottoporsi a un breve ciclo di chemioterapia per l'eliminazione dei globuli bianchi esistenti e, poco prima dell'infusione, gli viene somministrato paracetamolo e un antistaminico per ridurre il rischio di reazioni all'infusione.

Devono essere disponibili un medicinale denominato tocilizumab e apparecchiature di emergenza nel caso in cui il paziente manifesti un effetto indesiderato potenzialmente grave detto sindrome da rilascio di citochine (vedere la sezione sui rischi in basso).



I pazienti devono essere monitorati attentamente per 10 giorni dopo il trattamento ai fini del controllo degli effetti indesiderati; è consigliabile che soggiornino nelle vicinanze di una struttura clinica specializzata per almeno 4 settimane dopo il trattamento.

Per maggiori informazioni sull'uso di Yescarta, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.

Come agisce Yescarta?

Yescarta contiene linfociti T (un tipo di globuli bianchi) del paziente che sono stati geneticamente modificati in laboratorio in modo da produrre una proteina denominata recettore chimerico per l'antigene (CAR). Il CAR può legarsi a un'altra proteina presente sulla superficie delle cellule tumorali chiamata CD19.

Quando Yescarta viene somministrato al paziente, i linfociti T modificati si legano alle cellule tumorali e le sopprimono, contribuendo in tal modo all'eliminazione del cancro dall'organismo.

Quali benefici di Yescarta sono stati evidenziati negli studi?

Uno studio principale condotto su 111 pazienti affetti da DLBCL e PMBCL che non rispondevano al trattamento precedente o avevano manifestato recidiva ha dimostrato l'efficacia di Yescarta nell'eliminare il cancro in numerosi pazienti. Dei pazienti che hanno aderito allo studio, il 47% ha avuto una risposta completa (ovvero non presentava più alcun segno di cancro) e il 66% ha avuto una risposta almeno parziale in seguito al trattamento con Yescarta.

Questi risultati sono stati migliori di quelli ottenuti dagli studi condotti su pazienti sottoposti a trattamenti oncologici standard, in cui il 7% circa dei pazienti ha avuto una risposta completa e il 26% circa ha avuto una risposta almeno parziale.

Quali sono i rischi associati a Yescarta?

Effetti indesiderati gravi si verificano in più di 1 paziente su 2. Gli effetti indesiderati gravi più comuni sono la sindrome da rilascio di citochine (una condizione potenzialmente fatale che può causare febbre, vomito, dispnea, dolore e pressione bassa), l'encefalopatia (un disturbo cerebrale associato a cefalea, sonnolenza e confusione mentale) e infezioni.

Per l'elenco completo degli effetti indesiderati e delle limitazioni rilevati con Yescarta, vedere il foglio illustrativo.

Perché Yescarta è autorizzato nell'UE?

Uno studio principale ha dimostrato l'efficacia di Yescarta nell'eliminare il cancro in numerosi pazienti affetti da DLBCL e PMBCL che non avevano risposto a un trattamento precedente o manifestato recidiva. Il numero di pazienti nei quali il cancro è stato eliminato o che hanno avuto almeno una risposta parziale è stato superiore a quello dei pazienti trattati con cure standard.

Possono verificarsi gravi effetti indesiderati, in particolare la sindrome da rilascio di citochine; tuttavia tali effetti sono gestibili se vengono adottate misure adeguate (vedere di seguito). Pertanto, l'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Yescarta sono superiori ai rischi e perciò può essere autorizzato per l'uso nell'UE.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Yescarta?

La ditta che commercializza Yescarta deve assicurarsi che gli ospedali in cui viene somministrato Yescarta dispongano di competenze, strutture e formazione adeguate. Tocilizumab deve essere disponibile in caso di sindrome da rilascio di citochine. La ditta deve fornire materiali formativi agli operatori sanitari e ai pazienti sui possibili effetti indesiderati, in particolare sulla sindrome da rilascio di citochine.

Inoltre, la ditta deve condurre uno studio per ottenere maggiori informazioni sulla sicurezza a lungo termine di Yescarta.

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Yescarta sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate anche nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Yescarta sono costantemente monitorati. Gli effetti indesiderati riportati con Yescarta sono valutati attentamente e qualsiasi azione necessaria alla salvaguardia dei pazienti è intrapresa.

Altre informazioni su Yescarta

Ulteriori informazioni su Yescarta sono disponibili sul sito web dell'Agenzia: [ema.europa.eu/Find/medicines/Human medicines/European public assessment reports](https://www.ema.europa.eu/Find/medicines/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).