



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/854121/2022
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 adulti affetti da determinati tipi di cancro del sangue:

- linfoma a cellule B ad alto grado (HGBL);
- linfoma diffuso a grandi cellule B (DLBCL);
- linfoma primitivo del mediastino a grandi cellule B (PMBCL);
- linfoma follicolare (LF).

Yescarta è indicato per il trattamento di pazienti con cancro del sangue che ha recidivato (recidivante) o ha smesso di rispondere al trattamento (refrattario).

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 qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) per il DLBCL il [16 dicembre 2014](#), per il PMBCL il [9 ottobre 2015](#) e per l'LF l'[11 novembre 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, geneticamente modificati in laboratorio e poi somministrati nuovamente al paziente.

Viene somministrato come singola infusione (flebo) in vena ed esclusivamente al paziente da cui sono stati prelevati i globuli bianchi utilizzati per prepararlo. Prima della somministrazione di Yescarta il paziente deve sottoporsi a un breve ciclo di chemioterapia per l'eliminazione dei globuli bianchi esistenti. Subito prima dell'infusione gli viene somministrato paracetamolo e un antistaminico per ridurre il rischio di reazioni all'infusione.

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



Devono essere disponibili un medicinale denominato tocilizumab (o un'alternativa idonea, qualora non sia disponibile a causa di una penuria) e apparecchiature di emergenza nel caso in cui il paziente lamenti un effetto indesiderato potenzialmente grave, denominato sindrome da rilascio di citochine (vedere la sezione relativa ai rischi in basso).

Dopo il trattamento, i pazienti devono essere attentamente monitorati per 10 giorni ai fini del controllo degli effetti indesiderati; inoltre, è consigliabile che soggiornino nelle vicinanze di un ospedale specializzato per almeno 4 settimane.

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 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?

Linfoma a cellule B ad alto grado (HGBL) e linfoma diffuso a grandi cellule B (DLBCL) dopo una linea di trattamento

Uno studio principale condotto su 359 pazienti affetti da HGBL o DLBCL che non avevano risposto al trattamento o avevano recidivato entro un anno dall'inizio di un precedente trattamento ha evidenziato che Yescarta è efficace nel prolungare il periodo di sopravvivenza dei pazienti senza determinati eventi (peggioramento della malattia, inizio di una nuova terapia contro il linfoma o morte). In media, nei pazienti trattati con Yescarta non si sono registrati eventi per circa 8 mesi rispetto ai 2 mesi dei pazienti sottoposti a trattamenti standard contro il cancro. Inoltre, non si sono registrati eventi nel 41 % dei pazienti dopo 24 mesi di trattamento con Yescarta, a fronte del 16 % dei pazienti sottoposti a un trattamento standard.

Linfoma diffuso a grandi cellule B (DLBCL) e linfoma primitivo del mediastino a grandi cellule B (PMBCL) dopo due o più linee di trattamento

Uno studio principale condotto su 111 pazienti affetti da DLBCL e PMBCL che non avevano risposto a due trattamenti precedenti o avevano recidivato ha dimostrato l'efficacia di Yescarta nell'eliminare il cancro in numerosi casi. 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 negli studi condotti su pazienti sottoposti a trattamenti oncologici standard, in cui il 7 % circa ha avuto una risposta completa e il 26 % circa ha avuto una risposta almeno parziale.

Linfoma follicolare (LF) dopo tre o più linee di trattamento

Uno studio principale condotto su 75 pazienti affetti da LF che, dopo almeno tre trattamenti precedenti, non rispondeva alla terapia o aveva recidivato ha evidenziato che Yescarta è efficace nell'eliminare il cancro in molti casi. Il 91 % dei suddetti pazienti ha risposto al trattamento, con una risposta completa nel 77 % dei casi.

Questi risultati sono stati migliori di quelli osservati negli studi condotti su pazienti sottoposti a trattamenti standard per l'LF.

Quali sono i rischi associati a Yescarta?

Effetti indesiderati gravi possono verificarsi in circa 1 paziente su 2. Gli effetti indesiderati gravi più comuni sono sindrome da rilascio di citochine (un'affezione potenzialmente mortale che può causare febbre, vomito, respiro affannoso, dolore e pressione arteriosa bassa), encefalopatia (un disturbo cerebrale associato a cefalea, sonnolenza e confusione mentale) e infezioni.

Yescarta non deve essere usato in pazienti allergici a gentamicina (un tipo di antibiotico). 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, HGBL e PMBCL che non avevano risposto a un trattamento precedente o avevano recidivato. 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 sottoposti a trattamenti standard. Un altro studio ha inoltre dimostrato che il medicinale è efficace nell'eliminare il cancro in molti pazienti affetti da LF che, dopo almeno tre trattamenti precedenti, non rispondeva o aveva recidivato.

Effetti indesiderati gravi, in particolare la sindrome da rilascio di citochine, sono comuni nei pazienti trattati con Yescarta, ma sono anche 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 che il suo uso può essere autorizzato 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 il medicinale dispongano di competenze, strutture e formazione adeguate. In caso di sindrome da rilascio di citochine deve essere disponibile tocilizumab o un'alternativa adeguata. La ditta deve fornire materiali formativi per gli operatori sanitari e i pazienti sui possibili effetti indesiderati, in particolare sulla sindrome da rilascio di citochine.

Inoltre, deve condurre uno studio per acquisire 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

Yescarta ha ricevuto un'autorizzazione all'immissione in commercio valida in tutta l'UE il 23 agosto 2018.

Ulteriori informazioni su Yescarta sono disponibili sul sito web dell'Agenzia:

ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/yescarta.

Ultimo aggiornamento della presente sintesi: 11-2022.