



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Yescarta (*akxykabtagen cyloleucel*)

Przegląd wiedzy na temat leku Yescarta i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

Czym jest lek Yescarta i w jakim celu się go stosuje

Yescarta jest lekiem stosowanym w leczeniu osób dorosłych z określonymi rodzajami nowotworu krwi:

- chłoniaka z komórek B o wysokim stopniu złośliwości (ang. high-grade B-cell lymphoma, HGBL);
- chłoniaka rozlanego z dużych komórek B (ang. diffuse large B-cell lymphoma, DLBCL);
- pierwotnego chłoniaka śródpiersia z dużych komórek B (ang. primary mediastinal large B-cell lymphoma, PMBCL);
- chłoniaka grudkowego (ang. follicular lymphoma, FL).

Lek Yescarta jest przeznaczony dla pacjentów, u których nastąpił nawrót nowotworu krwi (nowotwór nawrotowy) lub przestał on reagować na poprzednie leczenie (nowotwór oporny na leczenie).

Yescarta jest rodzajem leku do zaawansowanego leczenia, zwanym „produktem terapii genowej”. Jest to rodzaj leku, którego działanie polega na dostarczaniu genów do organizmu.

Ze względu na to, że nowotwory krwi, w leczeniu których stosuje się lek Yescarta występują rzadko, lek Yescarta uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach) w następujących terminach: w dniu [16 grudnia 2014 r.](#) w leczeniu DLBCL, w dniu [9 października 2015 r.](#) w leczeniu PMBCL i w dniu [11 listopada 2015 r.](#) w leczeniu FL.

Substancją czynną zawartą w leku Yescarta jest akxykabtagen cyloleucel (składający się ze zmodyfikowanych genetycznie białych krwinek).

Jak stosować lek Yescarta

Lek Yescarta przygotowuje się z własnych krwinek białych pacjenta, które pobiera się z krwi, modyfikuje genetycznie w laboratorium, a następnie z powrotem podaje pacjentowi.

Lek podaje się w postaci jednorazowego wlewu dożylnego (kroplówki). Lek musi zostać podany temu pacjentowi, z którego krwinek został wytworzony. Przed podaniem leku Yescarta pacjent powinien

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



otrzymać krótki cykl chemioterapii w celu usunięcia istniejących krwinek białych, a tuż przed wlewem otrzymać paracetamol i lek przeciwhistaminowy, aby zmniejszyć ryzyko wystąpienia reakcji na wlew.

W przypadku wystąpienia u pacjenta potencjalnie poważnych działań niepożądanych, takich jak zespół uwalniania cytokin (patrz poniższy punkt dotyczący zagrożeń), konieczna jest dostępność leku o nazwie tocilizumab (lub odpowiedniej alternatywy, jeśli jest on niedostępny z powodu niedoboru) oraz sprzętu ratunkowego.

Przez 10 dni po podaniu leku pacjentów należy poddawać uważnej obserwacji pod kątem działań niepożądanych i zaleca się pozostawanie w bliskiej odległości od szpitala specjalistycznego przez co najmniej 4 tygodnie po leczeniu.

Więcej informacji o sposobie stosowania leku Yescarta znajduje się w Ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.

Jak działa lek Yescarta

Lek Yescarta zawiera własne limfocyty T pacjenta (rodzaj krwinek białych), które zostały genetycznie zmodyfikowane w laboratorium, aby wytwarzały białko o nazwie chimerowy receptor antygenowy (CAR). CAR może się przyłączać do innego białka na powierzchni komórek nowotworowych, zwanego CD19.

Po podaniu leku Yescarta pacjentowi zmodyfikowane limfocyty T przyłączają się do komórek nowotworowych i zabijają je, pomagając w ten sposób usuwać nowotwór z organizmu.

Korzyści ze stosowania leku Yescarta wykazane w badaniach

Chłoniak z komórek B o wysokim stopniu złośliwości (HGBL) i chłoniak rozlany z dużych komórek B (DLBCL) po jednej linii leczenia

W badaniu głównym z udziałem 359 pacjentów z HGBL lub DLBCL, u których nie wystąpiła odpowiedź na leczenie lub doszło do nawrotu choroby w ciągu roku od poprzedniego leczenia, zaobserwowano, że lek Yescarta jest skuteczny w wydłużaniu czasu przeżycia pacjentów bez wystąpienia określonego zdarzenia (postęp choroby, rozpoczęcie nowego leczenia chłoniaka lub śmierć). U pacjentów, którym podawano lek Yescarta, nie odnotowano żadnych zdarzeń średnio przez około 8 miesięcy, w porównaniu z 2 miesiącami w przypadku pacjentów stosujących standardowe metody leczenia przeciwnowotworowego. Ponadto u 41% pacjentów otrzymujących lek Yescarta po 24 miesiącach leczenia nie występowały żadne zdarzenia, w porównaniu z 16% pacjentów otrzymujących leczenie standardowe.

Chłoniak rozlany z dużych komórek B (DLBCL) i pierwotny chłoniak śródpiersia z dużych komórek B (PMBCL) po dwóch lub więcej linii leczenia

W badaniu głównym z udziałem 111 pacjentów z DLBCL i PMBCL, u których nie wystąpiła odpowiedź na dwa wcześniejsze leczenie lub nastąpił nawrót choroby, wykazano, że lek Yescarta jest skuteczny w usuwaniu nowotworu u wielu pacjentów. Spośród pacjentów, którzy uczestniczyli w badaniu, u 47% osób uzyskano całkowitą odpowiedź na leczenie (co oznacza, że nie pozostały u nich żadne oznaki nowotworu), a u 66% co najmniej częściową odpowiedź na leczenie po zastosowaniu leku Yescarta.

Wyniki były lepsze niż w przypadku badań z udziałem pacjentów otrzymujących standardowe terapie przeciwnowotworowe, wśród których u około 7% wystąpiła całkowita odpowiedź na leczenie, a u około 26% co najmniej częściowa odpowiedź na leczenie.

Chłoniak grudkowy (FL) po trzech lub więcej linii leczenia

W badaniu głównym z udziałem 75 pacjentów z FL, u których po co najmniej trzech wcześniejszych terapiach nie wystąpiła odpowiedź na leczenie lub nastąpił nawrót choroby, wykazano, że lek Yescarta jest skuteczny w usuwaniu nowotworu u wielu pacjentów. U 91% z nich wystąpiła odpowiedź na leczenie, z czego u 77% była to pełna odpowiedź.

Wyniki te były lepsze niż zaobserwowane w badaniach z udziałem pacjentów otrzymujących standardowe metody leczenia FL.

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Yescarta

Poważne działania niepożądane mogą wystąpić u około 1 na 2 pacjentów. Najczęstsze poważne działania niepożądane to: zespół uwalniania cytokin (potencjalnie zagrażający życiu stan, który może wywoływać gorączkę, wymioty, duszność, ból i niskie ciśnienie krwi), encefalopatia (zaburzenie mózgu obejmujące ból głowy, senność i splątanie) i zakażenia.

Leku Yescarta nie wolno stosować u pacjentów nadwrażliwych na gentamycynę (rodzaj antybiotyku). Pełny wykaz działań niepożądanych i ograniczeń związanych ze stosowaniem leku Yescarta znajduje się w Ulotce dla pacjenta.

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Yescarta w UE

W badaniu głównym wykazano, że lek Yescarta skutecznie usuwa nowotwór u wielu pacjentów z DLBCL, HGBL i PMBCL, którzy nie reagowali na wcześniejsze leczenie lub u których nastąpił nawrót choroby. Liczba pacjentów, u których nowotwór został usunięty lub wystąpiła przynajmniej częściowa odpowiedź na leczenie, była wyższa, niż w przypadku pacjentów otrzymujących standardową terapię. W innym badaniu wykazano również, że lek jest skuteczny w usuwaniu nowotworu u wielu pacjentów z FL, u których po co najmniej trzech wcześniejszych terapiach nie wystąpiła odpowiedź na leczenie lub nastąpił nawrót choroby.

Poważne działania niepożądane, szczególnie zespół uwalniania cytokin, są częste u pacjentów przyjmujących lek Yescarta. Są one jednak możliwe do opanowania, jeżeli zastosuje się odpowiednie środki (patrz poniżej). Europejska Agencja Leków (EMA) uznała zatem, że korzyści płynące ze stosowania leku Yescarta przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Yescarta

Firma, która wprowadza lek Yescarta do obrotu, musi zagwarantować, że szpitale, w których podawany jest lek Yescarta, posiadają odpowiednią wiedzę specjalistyczną, wyposażenie i właściwie przeszkolony personel. W razie wystąpienia zespołu uwalniania cytokin konieczna jest dostępność tocilizumabu lub odpowiedniej alternatywy. Firma musi przekazać materiały edukacyjne dla personelu medycznego i pacjentów dotyczące możliwych działań niepożądanych, zwłaszcza zespołu uwalniania cytokin.

Firma musi także przeprowadzić badanie, aby uzyskać więcej informacji na temat długoterminowego bezpieczeństwa leku Yescarta.

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Yescarta w Charakterystyce Produktu Leczniczego i w Ulotce dla pacjenta zawarto również zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane o stosowaniu leku Yescarta są stale monitorowane. Zgłaszane działania niepożądane leku Yescarta są starannie oceniane i podejmowane są wszystkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje dotyczące leku Yescarta

Lek Yescarta otrzymał pozwolenie na dopuszczenie do obrotu, ważne w całej UE od dnia 23 sierpnia 2018 r.

Dalsze informacje na temat leku Yescarta znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/yescarta.

Data ostatniej aktualizacji: 11.2022.