



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Yescarta (*aksicabtagen ciloleucel*)

Pregled zdravila Yescarta in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Yescarta in za kaj se uporablja?

Yescarta je zdravilo za zdravljenje določenih vrst krvnega raka pri odraslih:

- B-celičnega limfoma visoke stopnje;
- difuznega velikoceličnega B-limfoma;
- primarnega mediastinalnega velikoceličnega B-limfoma;
- folikularnega limfoma.

Zdravilo Yescarta je namenjeno bolnikom, pri katerih se je krvni rak ponovil (relaps) ali se je prenehal odzivati na predhodno zdravljenje (neodziven).

Zdravilo Yescarta spada v skupino zdravil za napredno zdravljenje, ki se imenujejo „zdravila za gensko zdravljenje“. Gre za skupino zdravil, ki delujejo tako, da prenesejo gene v telo.

Oblike krvnega raka, za zdravljenje katerih se uporablja zdravilo Yescarta, so redke, zato je bilo zdravilo Yescarta [16. decembra 2014](#) določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni) za zdravljenje difuznega velikoceličnega B-limfoma, [9. oktobra 2015](#) kot „zdravilo sirota“ za zdravljenje primarnega mediastinalnega velikoceličnega B-limfoma in [11. novembra 2015](#) kot „zdravilo sirota“ za zdravljenje folikularnega limfoma.

Zdravilo Yescarta vsebuje učinkovino aksicabtagen ciloleucel (ki vsebuje gensko spremenjene bele krvne celice).

Kako se zdravilo Yescarta uporablja?

Zdravilo Yescarta se pripravi s pomočjo bolnikovih lastnih belih krvnih celic, ki se pridobijo iz krvi in v laboratoriju gensko spremenijo, nato pa se vrnejo bolniku.

Daje se v obliki enkratne (kapalne) infuzije v veno in se sme dati samo bolniku, čigar celice so bile uporabljene za pripravo zdravila. Pred prejemanjem zdravila Yescarta mora bolnik prejeti kratek cikel kemoterapije, da se iz krvi odstranijo obstoječe bele krvne celice, tik pred infuzijo pa mora prejeti še paracetamol in antihistaminik za zmanjšanje tveganja reakcije na infuzijo.

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



Na voljo mora biti zdravilo, imenovano tocilizumab (ali ustrezna alternativa, če zaradi pomanjkanja ni na voljo), in oprema za nujno medicinsko pomoč za primer pojava resnega neželenega učinka, imenovanega sindrom sproščanja citokinov (glejte poglavje o tveganjih v nadaljevanju).

Bolnike je treba deset dni po zdravljenju skrbno spremljati glede pojava neželenih učinkov in jim priporočiti, da še vsaj štiri tedne po zdravljenju bivajo blizu specialistične bolnišnice.

Za več informacij glede uporabe zdravila Yescarta glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Kako zdravilo Yescarta deluje?

Zdravilo Yescarta vsebuje bolnikove lastne celice T (vrsto belih krvnih celic), ki so bile v laboratoriju gensko spremenjene tako, da tvorijo beljakovino, imenovano himerni antigenski receptor (CAR). Ta beljakovina se lahko veže na drugo beljakovino na površini rakavih celic, imenovano CD19.

Po dajanju zdravila Yescarta bolniku se gensko spremenjene celice T pripojijo na rakave celice in jih uničijo, s tem pa pripomorejo k odstranjevanju rakavih celic iz telesa.

Kakšne koristi zdravila Yescarta so se pokazale v študijah?

B-celični limfom visoke stopnje in difuzni velikocelični B-limfom po eni obliki zdravljenja

Glavna študija, ki je vključevala 359 bolnikov z B-celičnim limfomom visoke stopnje ali difuznim velikoceličnim B-limfomom, ki se bodisi niso odzvali na eno predhodno zdravljenje bodisi se je leto dni po prejemu predhodnega zdravljenja bolezen ponovila, je pokazala, da je zdravilo Yescarta učinkovito pri podaljšanju obdobja brez nastopa neželenega dogodka (npr. poslabšanja bolezni, pričetka novega zdravljenja limfoma ali smrti). V povprečju pri bolnikih, ki so prejeli zdravilo Yescarta, do teh neželenih dogodkov ni prišlo v približno osemmesečnem obdobju, pri bolnikih, ki so prejeli standardna zdravila za zdravljenje raka, pa v dvomesečnem obdobju. Poleg tega po 24 mesecih zdravljenja do neželenih dogodkov ni prišlo pri 41 % bolnikov, ki so prejeli zdravilo Yescarta, v primerjavi s 16 % bolnikov, ki so prejeli standardno zdravljenje.

Difuzni velikocelični B-limfom in primarni mediastinalni velikocelični B-limfom po dveh ali več oblikah zdravljenja

Glavna študija pri 111 bolnikih z difuznim velikoceličnim B-limfomom ali primarnim mediastinalnim velikoceličnim B-limfomom, ki se nista odzvala na dve predhodni zdravljenji ali pa sta se ponovila, je pokazala, da zdravilo Yescarta pri številnih bolnikih učinkovito odstrani raka. Pri 47 % bolnikov, ki so se pridružili študiji, je prišlo do popolnega odziva (kar pomeni, da niso več imeli znakov raka), pri 66 odstotkih bolnikov pa je po zdravljenju z zdravilom Yescarta prišlo do vsaj delnega odziva.

Ti izidi so bili boljši kot izidi študij pri bolnikih, ki so prejeli standardna zdravila proti raku, saj je do popolnega odziva prišlo pri 7 % teh bolnikov, do vsaj delnega odziva pa pri 26 % bolnikov.

Folikularni limfom po treh ali več oblikah zdravljenja

Glavna študija, v kateri je sodelovalo 75 bolnikov s folikularnim limfomom, ki se po vsaj treh predhodnih zdravljenjih ni odzval ali se je ponovil, je pokazala, da zdravilo Yescarta pri številnih bolnikih učinkovito odstrani raka. Od teh se jih je 91 % odzvalo na zdravljenje, pri čemer jih je 77% doseglo popoln odziv.

Ti rezultati so bili boljši od tistih, ki so jih zabeležili v študijah z bolniki, ki so prejeli standardno zdravljenje za folikularni limfom.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Yescarta?

Resni neželeni učinki se lahko pojavijo pri približno enem od dveh bolnikov. Najpogostejši resni neželeni učinki so sindrom sproščanja citokinov (morebitno smrtno nevarno stanje, ki lahko povzroči zvišano telesno temperaturo, bruhanje, zasoplost, bolečino in nizek krvni tlak), encefalopatija (obolenje možganov, za katerega so značilni glavobol, zaspanost in zmedenost) ter okužbe.

Zdravilo Yescarta se ne sme uporabljati pri bolnikih, ki so alergični na gentamicin (vrsto antibiotika). Za celoten seznam neželenih učinkov in omejitev pri uporabi zdravila Yescarta glejte navodilo za uporabo.

Zakaj je bilo zdravilo Yescarta odobreno v EU?

Glavna študija je pokazala, da zdravilo Yescarta učinkovito odstrani raka pri številnih bolnikih z difuznim velikoceličnim B-limfomom, B-celičnim limfomom visoke stopnje ali primarnim mediastinalnim velikoceličnim B-limfomom, ki se niso odzvali na predhodno zdravljenje ali so se ponovili. Število bolnikov, pri katerih je bil rak odstranjen ali je prišlo do vsaj delnega odziva, je bilo višje kot pri bolnikih, ki so prejeli standardno zdravljenje. Druga študija je prav tako pokazala, da zdravilo pri številnih bolnikih s folikularnim limfomom učinkovito odstrani raka, ki se po vsaj treh predhodnih zdravljenjih ni odzval ali se je ponovil.

Resni neželeni učinki, zlasti sindrom sproščanja citokinov, so pogosti pri bolnikih, ki se zdravijo z zdravilom Yescarta, vendar so ob ustreznih ukrepih (glej spodaj) obvladljivi. Evropska agencija za zdravila je zato zaključila, da so koristi zdravila Yescarta večje od z njim povezanih tveganj in da se lahko odobri za uporabo v EU.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Yescarta?

Podjetje, ki trži zdravilo Yescarta, mora zagotoviti, da je v bolnišnicah, v katerih se daje to zdravilo, na voljo ustrezna oprema ter da ima osebje ustrezno strokovno znanje in izkušnje ter je ustrezno usposobljeno. Za primer sindroma sproščanja citokinov mora biti na voljo tocilizumab ali ustrezno alternativno zdravilo. Podjetje mora zagotoviti izobraževalno gradivo za zdravstvene delavce in bolnike o možnih neželenih učinkih, zlasti o sindromu sproščanja citokinov.

Podjetje mora tudi izvesti študijo za pridobitev več informacij o dolgoročni varnosti zdravila Yescarta.

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Yescarta upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni tudi v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Yescarta stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Yescarta, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

Druge informacije o zdravilu Yescarta

Za zdravilo Yescarta je bilo 23. avgusta 2018 izdano dovoljenje za promet, veljavno po vsej EU.

Nadaljnje informacije za zdravilo Yescarta so na voljo na spletni strani agencije: ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/yescarta.

Povzetek je bil nazadnje posodobljen 11-2022.