



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/205979/2019  
EMA/H/C/003691

## Zynteglo (автоложни CD34+ клетки, кодиращи гена на $\beta$ A-T87Q-глобин)

Общ преглед на Zynteglo и защо е разрешен за употреба в ЕС

### Какво представлява Zynteglo и за какво се използва?

Zynteglo е лекарство, което се използва за лечение на заболяване на кръвта, познато като бета-таласемия при пациенти на 12 и повече години, които се нуждаят от редовни кръвопреливания.

Хора с това генетично заболяване не произвеждат достатъчно бета-глобин, който е компонент на хемоглобина — протеина в червените кръвни клетки, който пренася кислород в организма. В резултат на това пациентите имат ниски нива на червените кръвни клетки и се нуждаят от чести кръвопреливания.

Zynteglo се използва при пациенти, при които бета-глобин не липсва напълно и при които трансплантация на стволови клетки е подходяща, но няма съвместим член от семейството, който да стане донор.

Бета-таласемията се счита за рядко заболяване и Zynteglo е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки заболявания) на 24 януари 2013 г. Допълнителна информация за „лекарства сираци“ можете да намерите тук: [ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu3121091](http://ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu3121091).

Активното вещество в Zynteglo са взети от пациента стволови клетки, които са генетично модифицирани да съдържат работещ ген за бета-глобин.

### Как се използва Zynteglo?

Zynteglo се получава индивидуално за всеки пациент от извлечени от кръвта му/й стволови клетки и е предназначен само за пациента, за който е приготвен. Прилага се чрез инфузия (вливане) във вена, а дозата зависи от телесното тегло на пациента.

Преди прилагането на Zynteglo, пациентът се подлага на кондиционираща химиотерапия за изчистване на костния им мозък от клетки.

Zynteglo се отпуска по лекарско предписание и лечението трябва да се прилага в одобрен медицински център от лекар с опит в трансплантацията на стволови клетки и в лечението на



бета-таласемия. За повече информация относно употребата на Zynteglo вижте листовката или се свържете с вашия лекар или фармацевт.

## Как действа Zynteglo?

За приготвянето на Zynteglo стволовите клетки, взети от кръвта на пациента, се модифицират чрез вирус, който съдържа работещи копия на гена на бета-глобин в клетките. Когато модифицираните клетки се върнат обратно, те се пренасят с кръвния поток в костния мозък, където започват да образуват здрави червени кръвни клетки, които произвеждат бета-глобин. Очакват се ефектите от Zynteglo да останат за целия живот на пациента.

## Какви ползи от Zynteglo са установени в проучванията?

В 2 основни проучвания при пациенти с бета таласемия, които се нуждаят от редовни кръвопреливания, е установено, че Zynteglo е ефективен за намаляване на нуждата от кръвопреливане. В тези проучвания, от 14 пациенти, при които бета-глобин не липсва напълно и които получават Zynteglo, 11 имат достатъчно високи нива на червените кръвни клетки и не се нуждаят от кръвопреливане поне 1 година след лечението.

## Какви са рисковете, свързани със Zynteglo?

Засега много малък брой пациенти са лекувани със Zynteglo, а най-сериозната наблюдавана нежелана реакция е тромбоцитопения (ниски нива в кръвта на тромбоцитите — компоненти, които помагат на кръвта да се съсирва).

Zynteglo не трябва да се използва при бременни или кърмещи и при пациенти, които преди това са лекувани с генна терапия (лекарство, което въвежда гени). Лекарите трябва да преценят дали пациентите могат да бъдат подложени на необходимите предварителни лечения, преди да получат Zynteglo.

За пълния списък на ограниченията вижте листовката.

## Защо Zynteglo е разрешен за употреба в ЕС?

Зависима от трансфузия бета-таласемия е тежко заболяване, при което възможностите за лечение са ограничени. Проучванията показват, че след еднократно лечение със Zynteglo повечето пациенти вече не се нуждаят от кръвопреливане за увеличаване на нивата на работещи червени кръвни клетки в техния организъм. Това означава, че пациентите могат да избягнат излишно натрупване на желязо, което се среща при редовни трансфузии и се нуждае от отделно лечение.

Във връзка с безопасността, тъй като Zynteglo е произведен с използването на вирус, може да съществува потенциален риск от рак, предизвикан от непредвидени промени в генетичния материал, въпреки че такива случаи не са наблюдавани досега. Съществува и потенциален риск от кървене, тъй като лекарството може да причини намаляване на тромбоцитите. Въведени са мерки за наблюдение за такива събития чрез регистър на пациентите и дългосрочни проучвания за оценка на дългосрочните последици при пациентите.

Въпреки че информацията за безопасността на лекарството е ограничена поради малкия брой лекувани до момента пациенти и липсата на дългосрочни данни, Европейската агенция по лекарствата реши, че ползите от употребата на Zynteglo са по-големи от рисковете и този продукт може да бъде разрешен за употреба в ЕС.

Zynteglo е разрешен за употреба по т.нар. схема „разрешаване под условие“. Това означава, че се очакват допълнителни данни за лекарството, които фирмата се задължава да предостави. Всяка година Европейската агенция по лекарствата ще извършва преглед на новата информация и настоящото резюме съответно ще се актуализира.

### **Каква информация се очаква за Zynteglo?**

Тъй като Zynteglo е разрешен за употреба по т. нар. схема „разрешаване под условие“, фирмата, която предлага Zynteglo, ще предостави резултатите от текущи проучвания за допълнителна оценка на ефективността и безопасността на лекарството.

### **Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Zynteglo?**

Фирмата, която предлага Zynteglo, ще предостави обучителни материали за медицински специалисти, които се очаква да използват лекарството, с информация относно неговата безопасност, включително потенциалните рискове от рак и кървене, и за това как то следва да бъде прилагано. Пациентите ще получат и ръководство и карта, която трябва да носят със себе си. Освен това фирмата ще гарантира, че лекарството се доставя само от одобрени центрове.

Фирмата ще предостави и данни от регистър на пациентите, лекувани със Zynteglo, за проучване на неговата дългосрочна безопасност и ефективност, както и бъдещи данни относно тестовете, приложени при производството на лекарството, за гарантиране на неговото качество.

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Zynteglo, които следва да се спазват от медицинските специалисти и пациентите, са включени и в кратката характеристика на продукта, и в листовката.

Както при всички лекарства, данните във връзка с употребата на Zynteglo непрекъснато се проследяват. Съобщените нежелани реакции, свързани с употребата на Zynteglo, внимателно се оценяват и се предприемат всички необходими мерки за защита на пациентите.

### **Допълнителна информация за Zynteglo:**

Допълнителна информация за Zynteglo можете да намерите на уебсайта на Агенцията: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zynteglo](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zynteglo).