



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Zynteglo (*autologe CD34+ -celler, som koder $\beta$ A-T87Q-globin-genet*)

En oversigt over Zynteglo, og hvorfor det er godkendt i EU

### Hvad er Zynteglo, og hvad anvendes det til?

Zynteglo er et lægemiddel til behandling af en blodsygdom, som kaldes beta-thalassæmi hos patienter, der er 12 år og derover, og som har brug for regelmæssige blodtransfusioner.

Personer med denne genetisk betingede sygdom kan ikke producere nok betaglobin, en bestanddel i hæmoglobin, som er det protein i de røde blodlegemer, der transporterer ilt rundt i kroppen. Som følge heraf har disse patienter lave niveauer af røde blodlegemer og har brug for hyppige blodtransfusioner.

Zynteglo gives til patienter, der ikke helt mangler betaglobin, og som er egnede til stamcelletransplantation, men som ikke har en matchende donor.

Beta-thalassæmi er sjælden, og Zynteglo blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 24. januar 2013. Yderligere information om lægemidler til sjældne sygdomme kan findes her: [ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu3121091](http://ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu3121091).

Zynteglo indeholder som aktivt stof stamceller fra patienten selv, som er blevet genetisk modificeret, så de indeholder et gen, der producerer betaglobin.

### Hvordan anvendes Zynteglo?

Zynteglo fremstilles individuelt til hver patient af stamceller, der indsamles fra deres blod, og må kun gives til den patient, som det er fremstillet til. Det gives som en infusion (drop) i en vene, og dosis afhænger af patientens legemsvægt.

Inden Zynteglo gives, vil patienten modtage konditionerende kemoterapi for at rense deres knoglemarv for celler.

Zynteglo udleveres kun efter recept og skal gives i et godkendt center af en læge med erfaring i stamcelletransplantation og i behandling af beta-thalassæmi. For mere information om brug af Zynteglo, se indlægssedlen, eller kontakt lægen eller apotekspersonalet.



## Hvordan virker Zynteglo?

For at fremstille Zynteglo ændres stamceller, der tages fra patientens blod, ved hjælp af en virus, der overfører kopier af betaglobin-genet til cellerne. Når disse modificerede celler gives tilbage til patienten, transporteres de via blodbanen til knoglemarven, hvor de begynder at fremstille sunde, røde blodlegemer, der producerer betaglobin. Virkningen af Zynteglo forventes at vare resten af patientens liv.

## Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Zynteglo?

Zynteglo har vist sig at være effektivt til at reducere behovet for blodtransfusion i 2 hovedstudier hos patienter med beta-thalassæmi, der krævede regelmæssige blodtransfusioner. I disse studier havde 11 af de 14 patienter, der ikke helt manglede betaglobin, og som fik Zynteglo, tilstrækkeligt høje niveauer af røde blodlegemer, så de ikke havde brug for blodtransfusioner i mindst 1 år efter behandlingen.

## Hvilke risici er der forbundet med Zynteglo?

Et lille antal patienter er blevet behandlet med Zynteglo, og den alvorligste bivirkning er trombocytopeni (lavt antal blodplader, komponenter, der medvirker til at blodet størkner).

Zynteglo må ikke anvendes til gravide eller ammende kvinder og til patienter, der tidligere har fået genterapi (lægemiddel, der tilfører gener). Læger bør overveje, om patienterne kan gives de nødvendige behandlinger, der kræves, inden Zynteglo gives.

Den fuldstændige liste over begrænsninger fremgår af indlægssedlen.

## Hvorfor blev Zynteglo godkendt i EU?

Transfusionskrævende beta-thalassæmi er en alvorlig tilstand med begrænsede behandlingsmuligheder. Studier viser, at efter en engangsbehandling med Zynteglo har de fleste patienter ikke længere brug for blodtransfusioner for at øge deres indhold af røde blodlegemer. Det betyder, at patienterne kan undgå den omfattende ophobning af jern, som opstår med regelmæssige transfusioner, og som i sig selv kræver behandling.

Når det gælder sikkerheden kan der, da Zynteglo fremstilles ved hjælp af en virus, være en teoretisk risiko for kræft som følge af utilsigtede ændringer i det genetiske materiale, selvom der dog hidtil ikke er observeret sådanne tilfælde. Der er også en potentiel risiko for blødning, da lægemidlet kan mindske antallet af blodplader. Der er imidlertid iværksat foranstaltninger for at overvåge sådanne tilfælde ved hjælp af et patientregister og et langtidsstudie, som skal vurdere langtidseffekterne for patienterne.

Selv om oplysningerne om sikkerheden ved lægemidlet er begrænsede på grund af det lille antal patienter, der hidtil er blevet behandlet, og manglen på langsigtede data, besluttede Det Europæiske Lægemiddelagentur, at fordelene ved Zynteglo opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU.

Zynteglo har fået en "betinget godkendelse". Det betyder, at virksomheden er blevet pålagt at fremskaffe mere viden om lægemidlet. Hvert år gennemgår Det Europæiske Lægemiddelagentur eventuelle nye oplysninger, der måtte foreligge, og ajourfører om nødvendigt denne oversigt.

## Hvilke oplysninger afventes der stadig for Zynteglo?

Da Zynteglo har fået en betinget godkendelse, skal virksomheden, der markedsfører Zynteglo, indsende resultater af igangværende studier for yderligere at vurdere lægemidlets sikkerhed og virkning.

## Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Zynteglo?

Virksomheden, der markedsfører Zynteglo, vil levere informationsmateriale til sundhedspersoner, der forventes at bruge lægemidlet, med oplysninger om dets sikkerhed, herunder eventuelle risici for kræft og blødning, og hvordan det skal gives. Patienterne vil også modtage en vejledning og et kort, som de bør bære på sig. Virksomheden vil desuden sikre, at lægemidlet kun leveres fra godkendte centre.

Virksomheden vil også fremlægge oplysninger fra et register over patienter, der er behandlet med Zynteglo, for at undersøge lægemidlets sikkerhed og virkning på lang sigt samt yderligere oplysninger om de test, der anvendes ved fremstillingen af lægemidlet for at sikre dets kvalitet.

I produktresuméet og indlægssedlen er der desuden indføjet anbefalinger og forholdsregler, som sundhedspersonale og patienter skal følge med henblik på sikker og effektiv anvendelse af Zynteglo.

Som for alle lægemidler er data vedrørende brug af Zynteglo løbende overvåget. Bivirkninger rapporteret for Zynteglo vurderes omhyggeligt, og der foretages nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

## Andre oplysninger om Zynteglo

Yderligere information om Zynteglo findes på agenturets websted under: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zynteglo](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zynteglo).