



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zynteglo (*células CD34+ autólogas que codifican el gen de la β A-T87Q-globina*)

Información general sobre Zynteglo y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

¿Qué es Zynteglo y para qué se utiliza?

Zynteglo es un medicamento que se utiliza para tratar un trastorno de la sangre conocido como betatalasemia en pacientes a partir de 12 años de edad que necesitan frecuentes transfusiones de sangre.

Las personas que padecen esta enfermedad genética no pueden segregar suficiente betaglobina, un componente de la hemoglobina, la proteína de los glóbulos rojos que transporta oxígeno en el organismo. Por consiguiente, estos pacientes presentan niveles bajos de glóbulos rojos y necesitan frecuentes transfusiones de sangre.

Zynteglo está indicado en pacientes que no carecen completamente de betaglobina y que son aptos para el trasplante de células madre, pero carecen de un donante compatible con el que estén emparentados.

La betatalasemia es una enfermedad «rara», y Zynteglo ha sido designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 24 de enero de 2013. Puede encontrar más información acerca de la designación como medicamento huérfano en:

ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu3121091.

Zynteglo contiene, como principio activo, células madre extraídas de los pacientes y que se han modificado genéticamente para que contengan un gen funcional de betaglobina.

¿Cómo se usa Zynteglo?

Zynteglo se elabora de forma individual para cada paciente a partir de células madre extraídas de su sangre, y solo se debe administrar al paciente para quien se haya elaborado. Se administra mediante perfusión intravenosa (goteo) y la dosis depende del peso corporal del paciente.

Antes de administrar Zynteglo, el paciente recibirá un tratamiento de quimioterapia de acondicionamiento para eliminar las células de la médula ósea.



Zynteglo solo se podrá dispensar con receta médica y se deberá administrar en un centro autorizado por un médico con experiencia en el trasplante de células madre y en el tratamiento de la betatalasemia. Para más información sobre el uso de Zynteglo, consulte el prospecto o contacte con su médico o farmacéutico.

¿Cómo actúa Zynteglo?

Para fabricar Zynteglo, las células madre extraídas de la sangre del paciente se modifican con un virus que transporta copias funcionales del gen de betaglobina a las células. Cuando se reintroducen estas células modificadas en el paciente, el torrente sanguíneo las transporta a la médula ósea, donde empiezan a crear glóbulos rojos sanos que producen betaglobina. Se prevé que los efectos de Zynteglo duren durante toda la vida del paciente.

¿Qué beneficios ha demostrado tener Zynteglo en los estudios realizados?

Se ha demostrado la eficacia de Zynteglo en la reducción de la necesidad de transfusiones de sangre en 2 estudios principales en los que participaron pacientes con betatalasemia que necesitaban frecuentes transfusiones de sangre. En estos estudios, 11 de los 14 pacientes que no carecían completamente de betaglobina y a los que se les administró Zynteglo presentaban niveles suficientemente elevados de glóbulos rojos para que no necesitasen transfusiones de sangre durante al menos 1 año después del tratamiento.

¿Cuál es el riesgo asociado a Zynteglo?

Hasta la fecha, se ha tratado a un reducido número de pacientes con Zynteglo, y el efecto adverso más grave observado es la trombocitopenia (niveles bajos de plaquetas, componentes que ayudan a la coagulación de la sangre).

Zynteglo no debe administrarse a mujeres embarazadas o en período de lactancia ni a pacientes que hayan recibido previamente tratamiento de terapia génica (medicamento que introduce genes en el organismo). Los médicos deben considerar si es posible administrar a los pacientes los tratamientos previos necesarios antes de Zynteglo.

La lista completa de restricciones se puede consultar en el prospecto.

¿Por qué se ha autorizado Zynteglo en la UE?

La talasemia dependiente de transfusión es una enfermedad grave cuyas opciones de tratamiento son limitadas. Los estudios revelan que, con un tratamiento de una sola sesión con Zynteglo, la mayoría de los pacientes dejan de necesitar transfusiones de sangre para aumentar los niveles de glóbulos rojos funcionales. Esto significa que los pacientes pueden evitar la acumulación excesiva de hierro que se produce con las transfusiones frecuentes y que a su vez requiere tratamiento.

En cuanto a la seguridad, puesto que Zynteglo se produce utilizando un retrovirus, podría haber riesgo teórico de cáncer provocado por cambios involuntarios en el material genético, aunque hasta ahora no se han observado casos de este tipo. Existe también un riesgo potencial de hemorragia, ya que el medicamento puede provocar una reducción de las plaquetas. Sin embargo, existen medidas para hacer un seguimiento de estos episodios: un registro de pacientes y un estudio a largo plazo para evaluar la respuesta a largo plazo de los pacientes.

Aunque la información sobre la seguridad del medicamento es limitada debido al reducido número de pacientes tratados hasta la fecha y a la falta de datos a largo plazo, la Agencia Europea de

Medicamentos decidió que los beneficios de Zynteglo son mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su uso en la UE.

A Zynteglo se le ha concedido una «autorización condicional». Esta modalidad de aprobación implica que se espera obtener más información sobre este medicamento, que la compañía está obligada a proporcionar. La Agencia Europea de Medicamentos (EMA) revisará cada año la información nueva que pueda estar disponible y esta información general se actualizará cuando sea necesario.

¿Qué información falta todavía sobre Zynteglo?

Dado que a Zynteglo se le ha concedido una autorización condicional, la compañía que comercializa Zynteglo aportará resultados de estudios en curso para seguir evaluando la eficacia y la seguridad de Zynteglo.

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Zynteglo?

La compañía que comercializa Zynteglo proporcionará materiales educativos, para los profesionales de la salud que se espera utilicen el medicamento, con información sobre su seguridad, incluidos los posibles riesgos de cáncer y hemorragia, y cómo se debe administrar. Los pacientes también recibirán una guía y una tarjeta que deben llevar consigo. Además, la compañía se asegurará de que el medicamento solo se suministre en centros autorizados.

Asimismo, la compañía facilitará datos de un registro de pacientes tratados con Zynteglo para estudiar su seguridad y eficacia a largo plazo, así como datos adicionales sobre las pruebas utilizadas en la fabricación del medicamento para garantizar su calidad.

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Zynteglo se han incluido también en la Ficha Técnica o Resumen de las Características del Producto y el Prospecto.

Como para todos los medicamentos, los datos sobre el uso de Zynteglo se controlan permanentemente. Los efectos adversos notificados con Zynteglo se evalúan cuidadosamente, adoptándose las medidas que pudieran resultar necesarias para proteger a los pacientes.

Otra información sobre Zynteglo

Puede encontrar información adicional sobre Zynteglo en la página web de la Agencia:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zynteglo.