



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zynteglo (autoloogsed β A-T87Q-globiini geeni sisaldavad CD34+ rakud)

Ülevaade ravimist Zynteglo ja ELis müügiloa väljastamise põhjendus

Mis on Zynteglo ja milleks seda kasutatakse?

Zynteglo on ravim, mida kasutatakse verehaiguse beetalasseemia raviks vähemalt 12-aastastel patsientidel, kes vajavad pidevalt vereülekandeid.

Selle geneetilise seisundiga inimestel ei teki piisavalt beetaglobiini, mis on üks hemoglobiini (erütrotsüütide ehk vere punaliblede valk, mis transpordib hapnikku kõikjale organismis) komponente. Tulemusena on neil patsientidel erütrotsüütide vähesus ja nad vajavad sageli vereülekandeid.

Zynteglot kasutatakse patsientidel, kellel beetaglobiini geen ei puudu täielikult ja kes sobivad tüvirakkude transplantatsiooniks, kuid kellel ei ole koesobivat doonorit.

Beetatalasseemia esineb harva ja Zynteglo nimetati 24. jaanuaril 2013 harvikravimiks. Lisateave harvikravimiks nimetatud ravimi kohta on leitav: ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu3121091.

Zynteglo sisaldab toimeainena patsientidelt võetud ja geneetiliselt selliselt muundatud tüvirakke, et need sisaldavad beetaglobiini toimivat geeni.

Kuidas Zynteglot kasutatakse?

Zynteglo valmistatakse igale patsiendile eraldi patsiendilt kogutud tüvirakkudest ning seda tohib manustada üksnes patsiendile, kelle jaoks see on tehtud. Ravimit manustatakse veeniinfusioonina ja annus sõltub patsiendi kehamassist.

Enne Zynteglo manustamist saab patsient ettevalmistavat keemiaravi, mis hävitab tema luuüdirakud.

Zynteglo on retseptiravim. Seda tohib manustada üksnes tunnustatud keskuses ning üksnes tüvirakkude siirdamises ja beetalasseemia ravis kogenud arst. Lisateavet Zynteglo kasutamise kohta vt pakendi infolehest või konsulteerige oma arsti või apteekriga.



Kuidas Zynteglo toimib?

Zynteglo valmistamisel eraldatakse patsiendi verest tüvirakud, mida modifitseeritakse viirusega, mis kannab beetaglobiini geeni toimivaid koopiaid. Pärast nende modifitseeritud rakkude samale patsiendile tagasi manustamist liiguvad need vereringega luuüdisse, kus hakkavad moodustama terveid, beetaglobiini tootvaid punaliblesid. Zynteglo toime püsib eeldatavalt kogu patsiendi elu jooksul.

Milles seisneb uuringute põhjal Zynteglo kasulikkus?

Kahes uuringus, milles osalesid beetatalasseemiaga patsiendid, kes vajasisid korrapäraseid vereülekandeid, tõendati, et Zynteglo on efektiivne vereülekannete vajaduse vähendamisel. Nendes uuringutes oli 14st patsiendist, kellel beetaglobiin ei puudunud täielikult ja kellele manustati Zynteglot, 11 patsiendil piisavalt palju erütrotsüüte, nii et nad ei vajanud vereülekandeid vähemalt 1 aasta jooksul pärast ravi.

Mis riskid Zyntegloga kaasnevad?

Seni on Zyntegloga ravitud väike arv patsiente ning täheldatutest kõige raskem kõrvalnäht on trombotsütopeenia (trombotsüütide ehk vereliistakute, vere hüübimist soodustavate verekomponentide vähesus).

Zynteglot ei tohi kasutada raseduse ega imetamise ajal ega patsiendid, keda on varem ravitud geeniteraapiaga (geeniravimitega). Arst peab otsustama, kas patsiendile tohib teha enne Zynteglo manustamist nõutavat eelravi.

Piirangute täielik loetelu on pakendi infolehel.

ELis Zynteglole väljastatud müügiloa põhjendus

Vereülekannetest sõltuv beetatalasseemia on raske seisund, mille ravivõimalused on piiratud. Uuringud tõendasid, et Zyntegloga ühe ravikorra saanud patsientidest ei vajanud enamik enam vereülekandeid toimivate erütrotsüütide sisalduse suurendamiseks. See tähendab, et patsiendid väldivad korrapärase vereülekannetega kaasnevat raua liiglastumist, mis vajab omakorda ravi.

Et Zynteglot valmistatakse viiruse abil, võivad geneetilise materjali soovimatud muutused teoreetiliselt tekitada vähiriski, kuigi seni ei ole selliseid juhtumeid esinenud. Samuti on olemas potentsiaalne verejooksurisk, sest ravim võib vähendada trombotsüütide sisaldust. On võetud meetmeid, et jälgida selliseid sündmusi patsientide registri ning pikaajalise uuringu kaudu, milles hinnatakse patsientide pikaajalisi ravitulemusi.

Kuigi ravimi ohutusteave on piiratud, sest seni on ravitud vähe patsiente ja puuduvad pikaajalised andmed, otsustas Euroopa Raviamet, et Zynteglo kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid ja et ravimi kasutamise võib ELis heaks kiita.

Zynteglo on saanud müügiloa tingimusliku heakskiidu alusel. See tähendab, et ettevõtte peab esitama ravimi kohta veel andmeid. Amet vaatab igal aastal läbi kogu uue teabe ja vajaduse korral uuendab käesolevat ülevaadet.

Mis teavet Zynteglo kohta veel oodatakse?

Et Zynteglo on saanud müügiloa tingimusliku heakskiidu alusel, esitab Zynteglo turustaja toimivate uuringute tulemused, et täiendavalt hinnata ravimi efektiivsust ja ohutust.

Mis meetmed võetakse, et tagada Zynteglo ohutu ja efektiivne kasutamine?

Zynteglo turustaja annab eeldatavalt ravimit määravatele tervishoiutöötajatele teabepakme ravimi ohutuse kohta, sh potentsiaalse vähiriski ja verejooksuriski kohta, ning selle kohta, kuidas ravimit manustada. Patsiendid saavad samuti juhendi ja kaardi, mida nad peavad kaasas kandma. Lisaks tagab turustaja, et ravimit saab ainult tunnustatud keskustest.

Turustaja esitab ka Zyntegloga ravitud patsientide registri andmed, et uurida selle pikaajalist ohutust ja efektiivsust, samuti täiendavad andmed testide kohta, mida kasutatakse ravimi tootmisel selle kvaliteedi tagamiseks.

Zynteglo ohutu ja efektiivse kasutamise soovitused ja ettevaatusmeetmed tervishoiutöötajatele ja patsientidele on samuti lisatud ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

Nagu kõigi ravimite puhul, teostatakse Zynteglo kasutamise kohta pidevat järelvalvet. Zynteglo kõrvaltoimeid hinnatakse hoolikalt ja patsientide kaitseks rakendatakse vajalikke meetmeid.

Muu teave Zynteglo kohta

Lisateave Zynteglo kohta on ameti veebilehel: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zynteglo.