



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Zynteglo (*autologiset CD34+ -solut, jotka koodaavat $\beta$ A-T87Q-globiinigeeniä*)

Yleistiedot Zynteglo-valmisteesta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

### Mitä Zynteglo on ja mihin sitä käytetään?

Zynteglo on lääke, jota käytetään beetatalassemia-nimisen verisairauden hoidossa vähintään 12 vuoden ikäisillä potilailla, jotka tarvitsevat säännöllisesti verensiirtoja.

Ihmiset, joilla on tämä geneettinen sairaus, eivät pysty tuottamaan tarpeeksi beetaglobiinia. Se on hemoglobiinin, happea veren punasoluissa eri puolille elimistöä kuljettavan proteiinin osa. Siksi näillä potilailla veren punasolujen määrä on alhainen, ja he tarvitsevat usein verensiirtoja.

Zyntegloa käytetään potilailla, joilta beetaglobiini ei puutu kokonaan ja joille voitaisiin tehdä kantasolusiirto mutta joita varten ei ole sopivaa luovuttajaa.

Beetatalassemia on harvinainen sairaus, ja Zynteglo nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 24. tammikuuta 2013. Lisää tietoa harvinaislääkkeeksi nimeämisestä löytyy täältä: [ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu3121091](http://ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu3121091).

Zynteglo sisältää vaikuttavana aineena potilailta otettuja kantasoluja, jotka on muunnettu geneettisesti siten, että ne sisältävät toimivan beetaglobiinigeenin.

### Miten Zyntegloa käytetään?

Zyntegloa valmistetaan kullekin potilaalle yksilöllisesti kantasoluista, jotka on kerätty heidän verestään, ja sitä saa antaa vain potilaalle, jota varten se on valmistettu. Se annetaan infuusiona laskimoon, ja annos riippuu potilaan kehon painosta.

Ennen Zynteglon antamista potilas saa valmistavaa kemoterapiahoitoa, jolla heidän luuytimensä solut tuhoataan.

Zyntegloa saa vain lääkemääräyksestä, ja se on annettava hyväksytyssä keskuksessa sellaisen lääkärin toimesta, joka on kokenut kantasolusiirtojen tekemisessä ja beetatalassemian hoidossa. Lisätietoa Zynteglon käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.



## Miten Zynteglo vaikuttaa?

Zynteglon valmistamiseksi potilaan verestä otetut kantasolut muunnellaan sellaisen viruksen avulla, joka kuljettaa toimivia beetaglobiinigeenejä soluihin. Kun nämä muunnellut solut siirretään potilaaseen takaisin, ne kulkeutuvat verenkierrossa luuytimeen, jossa ne alkavat tuottaa terveitä punaverisoluja, jotka tuottavat beetaglobiinia. Zynteglon vaikutusten odotetaan kestävän koko potilaan eliniän.

## Mitä hyötyä Zynteglostä on havaittu tutkimuksissa?

Zynteglon on osoitettu vähentävän tehokkaasti verensiirtojen tarvetta kahdessa päätutkimuksessa. Niihin osallistui beetatalassemiapotilaita, jotka tarvitsivat säännöllisesti verensiirtoja. Näissä tutkimuksissa niistä 14 potilaasta, joilta beetaglobiini ei puuttunut kokonaan ja jotka saivat Zyntegloa, 11:llä oli tarpeeksi suuri määrä punaisia verisoluja, niin että he eivät tarvitseet verensiirtoja ainakaan yhteen vuoteen hoidon jälkeen.

## Mitä riskejä Zyntegloon liittyy?

Tähän mennessä Zynteglolla on hoidettu pieni määrä potilaita, ja vakavin todettu haittavaikutus on trombosytopenia (veren hyytymistä edistävien verihiutaleiden vähäinen määrä).

Zyntegloa ei saa antaa raskaana oleville tai imettäville naisille eikä potilaille, jotka ovat aiemmin saaneet geeniterapiaa (geenejä antavaa lääkettä). Lääkärin on harkittava, voiko potilaalle antaa ennen Zynteglon antamista tarvittavia esihaittoja.

Pakkauselosteessa on luettelo kaikista rajoituksista.

## Miksi Zynteglo on hyväksytty EU:ssa?

Verensiirroista riippuvainen beetatalassemia on vaikea sairaus, jonka hoitovaihtoehdot ovat vähäiset. Tutkimukset osoittavat, että saatuaan Zynteglo-kertahoidon useimmat potilaat eivät enää tarvitse verensiirtoja toimivien punaisten verisolujensa määrän lisäämiseksi. Tämä tarkoittaa, että potilaat voivat välttää raudan liiallisen kertymisen, joka on seurausta säännöllisistä verensiirroista ja joka myös vaatii hoitoa.

Koska Zynteglo valmistetaan käyttämällä virusta, on olemassa teoreettinen syövän riski perintöaineen tahattomien muutosten vuoksi, mutta yhtään tällaista tapausta ei ole toistaiseksi ilmennyt. Myös verenvuodon riski on mahdollinen, koska lääke saattaa vähentää verihiutaleiden määrää. Tällaisten tapahtumien seuraamiseen on kuitenkin toimenpiteitä potilasrekisterin ja pitkän aikavälin tutkimuksen muodossa potilaiden pitkän aikavälin tulosten arvioimiseksi.

Vaikka tiedot lääkkeen turvallisuudesta ovat vähäisiä, koska sillä tähän mennessä hoidettujen potilaiden määrä on pieni ja koska pitkän aikavälin tietoja ei ole, Euroopan lääkevirasto katsoi, että Zynteglon hyöty on sen riskejä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Zynteglolle on myönnetty ehdollinen myyntilupa. Tämä tarkoittaa, että lääkevalmisteesta on odotettavissa lisää tietoa, minkä yhtiö on velvollinen toimittamaan. Euroopan lääkevirasto tarkastaa vuosittain mahdollisesti saataville tulevat uudet tiedot, ja tätä katsausta päivitetään tarvittaessa.

## Mitä tietoja Zynteglostä odotetaan vielä saatavan?

Koska Zynteglolle on myönnetty ehdollinen myyntilupa, sitä markkinoiva yhtiö toimittaa tulokset meneillään olevista tutkimuksista arvioidakseen lisää lääkkeen tehoa ja turvallisuutta.

## Miten voidaan varmistaa Zynteglon turvallinen ja tehokas käyttö?

Zyntegloa markkinoiva yhtiö toimittaa sellaisille terveydenhuollon ammattilaisille, joiden odotetaan käyttävän tätä lääkettä, koulutusaineistoa, jossa kerrotaan sen turvallisuudesta, mukaan lukien syövän ja verenvuodon mahdolliset riskit, sekä siitä, miten lääkettä annetaan. Potilaat saavat myös oppaan ja kortin, jota heidän on pidettävä mukanaan. Lisäksi yhtiö varmistaa, että lääkettä toimitetaan vain hyväksytyistä keskuksista.

Yhtiö toimittaa myös tietoja Zynteglolla hoidettujen potilaiden rekisteristä sen pitkän aikavälin turvallisuuden ja tehon tarkastelemiseksi sekä myös lisätietoja testeistä, joita lääkettä valmistettaessa tehdään sen laadun varmistamiseksi.

Suosituksien ja varotoimien, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Zynteglon käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät myös valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Zynteglon käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Zynteglosta ilmoitetut haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet suoritetaan potilaiden suojelemiseksi.

## Muuta tietoa Zynteglosta

Lisää tietoa Zynteglosta on saatavissa viraston verkkosivustolla osoitteessa [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zynteglo](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zynteglo).