



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zynteglo (*cellules autologues enrichies en cellules CD34+ codant le gène β A-T87Q-globine*)

Aperçu de Zynteglo et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

Qu'est-ce que Zynteglo et dans quel cas est-il utilisé?

Zynteglo est un médicament utilisé pour traiter un trouble sanguin connu sous le nom de bêta-thalassémie chez les patients âgés de 12 ans et plus qui nécessitent des transfusions sanguines régulières.

Les personnes atteintes de cette maladie génétique ne peuvent pas produire suffisamment de bêta-globine, une composante de l'hémoglobine, la protéine dans les globules rouges qui transporte l'oxygène dans l'organisme. En conséquence, ces patients présentent de faibles niveaux de globules rouges et ont besoin de transfusions sanguines fréquentes.

Zynteglo est indiqué chez les patients qui ne manquent pas complètement de bêta-globine et qui sont éligibles à une transplantation de cellules souches, mais qui ne disposent pas d'un donneur apparenté compatible.

La bêta-thalassémie est rare et Zynteglo a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) le 24 janvier 2013. De plus amples informations sur les désignations de médicaments orphelins peuvent être trouvées ci-après:
ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu3121091.

Zynteglo contient comme substance active des cellules souches, prélevées chez les patients, qui ont été génétiquement modifiées pour contenir un gène fonctionnel pour la bêta-globine.

Comment Zynteglo est-il utilisé?

Zynteglo est fabriqué individuellement pour chaque patient à partir de cellules souches prélevées de leur sang, et il ne doit être administré qu'au patient pour lequel il est préparé. Il est administré par perfusion (goutte-à-goutte) dans une veine et la dose dépend du poids corporel du patient.

Avant l'administration de Zynteglo, le patient reçoit un traitement de conditionnement par chimiothérapie afin de supprimer les cellules de sa moelle osseuse.



Zynteglo n'est délivré que sur ordonnance et doit être administré dans un centre agréé par un médecin expérimenté dans la transplantation de cellules souches et dans le traitement de la bêta-thalassémie. Pour plus d'informations sur les conditions d'utilisation de Zynteglo, voir la notice ou contacter votre médecin ou pharmacien.

Comment Zynteglo agit-il?

Pour fabriquer Zynteglo, les cellules souches prélevées dans le sang du patient sont modifiées par un virus qui transporte des exemplaires fonctionnels du gène bêta-globine dans les cellules. Lorsque ces cellules modifiées sont réadministrées au patient, elles sont transportées dans la circulation sanguine vers la moelle osseuse où elles commencent à fabriquer des globules rouges sains qui produisent de la bêta-globine. Les effets de Zynteglo sont censés durer toute la vie du patient.

Quels sont les bénéfices de Zynteglo démontrés au cours des études?

Zynteglo s'est avéré efficace pour réduire la nécessité d'une transfusion sanguine dans 2 études principales chez des patients atteints de bêta-thalassémie nécessitant des transfusions sanguines régulières. Dans le cadre de ces études, sur les 14 patients qui ne manquaient pas complètement de bêta-globine et qui ont reçu Zynteglo, 11 présentaient des niveaux suffisamment élevés de globules rouges, de sorte qu'ils n'ont pas eu besoin de transfusions sanguines pendant au moins 1 an après le traitement.

Quels sont les risques associés à l'utilisation de Zynteglo?

Un petit nombre de patients ont été traités par Zynteglo jusqu'à présent et l'effet indésirable le plus grave observé est la thrombocytopenie (faibles taux sanguins de plaquettes, les composants qui aident le sang à coaguler).

Zynteglo ne doit pas être utilisé chez les femmes enceintes ou allaitantes et chez les patients qui ont déjà été traités par thérapie génique (un médicament qui libère des gènes). Les médecins doivent examiner si les patients peuvent recevoir les prétraitements requis avant Zynteglo.

Pour une liste complète des restrictions, voir la notice.

Pourquoi Zynteglo est-il autorisé dans l'UE?

La bêta-thalassémie dépendante des transfusions est une affection grave pour laquelle les options de traitement sont limitées. Des études montrent qu'avec un traitement unique par Zynteglo, la plupart des patients n'ont plus besoin de transfusions sanguines pour augmenter leurs niveaux de globules rouges fonctionnels. Cela signifie que les patients peuvent éviter l'accumulation excessive de fer qui se produit à la suite de transfusions régulières et qui nécessite elle-même un traitement.

En ce qui concerne la sécurité, comme Zynteglo est produit au moyen d'un virus, il pourrait y avoir un risque théorique de cancer provoqué par des modifications accidentelles du matériel génétique, bien qu'aucun cas de ce genre n'ait été observé jusqu'à présent. Il existe également un risque potentiel de saignement étant donné que le médicament peut provoquer une diminution du nombre de plaquettes. Toutefois, des mesures sont en place pour contrôler ces événements au moyen d'un registre des patients et d'une étude à long terme visant à évaluer les résultats à long terme pour les patients.

Bien que les informations sur la sécurité du médicament soient limitées en raison du faible nombre de patients traités à ce jour et du manque de données à long terme, l'Agence européenne des

médicaments a estimé que les bénéfices de Zynteglo sont supérieurs à ses risques et a autorisé l'utilisation de ce médicament au sein de l'UE.

Une «autorisation conditionnelle» a été délivrée pour Zynteglo. Cela signifie que des preuves supplémentaires, à fournir par la société, sont attendues pour ce médicament. Chaque année, l'Agence européenne des médicaments examinera toute nouvelle information disponible et, le cas échéant, procédera à la mise à jour du présent aperçu.

Quelles informations sont encore en attente au sujet de Zynteglo?

Une autorisation conditionnelle ayant été délivrée pour Zynteglo, la société qui commercialise Zynteglo fournira les résultats d'études en cours afin d'évaluer plus avant l'efficacité et la sécurité du médicament.

Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Zynteglo?

La société qui commercialise Zynteglo fournira du matériel pédagogique destiné aux professionnels de santé qui devraient utiliser le médicament, contenant des informations sur sa sécurité, y compris les risques potentiels de cancer et de saignement, et la manière dont il doit être administré. Les patients recevront également un guide et une carte qu'ils doivent porter sur eux. En outre, la société veillera à ce que le médicament ne soit fourni qu'à partir de centres agréés.

La société fournira également des données provenant d'un registre des patients traités par Zynteglo pour étudier sa sécurité et son efficacité à long terme, ainsi que des données supplémentaires sur les essais utilisés dans la fabrication du médicament pour en garantir la qualité.

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels des soins de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Zynteglo ont également été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Comme pour tous les médicaments, les données sur l'utilisation de Zynteglo sont surveillées en permanence. Les effets secondaires rapportés avec Zynteglo sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

Autres informations relatives à Zynteglo:

Des informations sur Zynteglo sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zynteglo.