



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zynteglo (*autologne CD34+ stanice s genom koji kodira β A-T87Q-globin*)

Pregled informacija o lijeku Zynteglo i zašto je odobren u EU-u

Što je Zynteglo i za što se primjenjuje?

Zynteglo je lijek koji se primjenjuje za liječenje poremećaja krvi poznatog pod nazivom beta-talasemija u osoba u dobi od 12 godina i starijih kojima su potrebne redovite transfuzije krvi.

Osobe s tim genetskim poremećajem ne mogu proizvesti dovoljno beta-globina, koji je sastavni dio hemoglobina, odnosno proteina u crvenim krvnim stanicama koji prenosi kisik po tijelu. Zbog toga ti bolesnici imaju nisku razinu crvenih krvnih stanica i često im je potrebna transfuzija.

Zynteglo se primjenjuje u bolesnika u kojih se ne radi o potpunom nedostatku beta-globina i koji su pogodni za transplantaciju matičnih stanica, ali nemaju podudarnog srodnog davatelja.

Beta-talasemija je rijetka bolest, a lijek Zynteglo dobio je status „lijeka za rijetku bolest“ 24. siječnja 2013. Više informacija o statusu lijeka za rijetku bolest nalazi se ovdje: ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu3121091.

Zynteglo sadržava djelatnu tvar u obliku matičnih stanica samih bolesnika koje su genetski modificirane kako bi sadržavale funkcionalni gen za beta-globin.

Kako se Zynteglo primjenjuje?

Zynteglo se proizvodi pojedinačno za svakog bolesnika od matičnih stanica iz krvi samog bolesnika i smije se dati samo bolesniku za kojega je proizveden. Primjenjuje se infuzijom (ukapavanjem) u venu, a doza ovisi o tjelesnoj težini bolesnika.

Prije nego što primi lijek Zynteglo, bolesnik će biti podvrgnut kondicionirajućoj kemoterapiji kako bi se uklonile stanice iz njegove koštane srži.

Zynteglo se izdaje samo na liječnički recept i mora ga primjenjivati liječnik s iskustvom u transplantaciji matičnih stanica i liječenju beta-talasemije, i to u kvalificiranom centru za liječenje. Više informacija o primjeni lijeka Zynteglo pročitajte u uputi o lijeku odnosno obratite se liječniku ili ljekarniku.



Kako djeluje Zynteglo?

Da bi se proizveo lijek Zynteglo, matične stanice uzete iz bolesnikove krvi modificiraju se virusom koji prenosi funkcionalne kopije gena za beta-globin u stanice. Kada se tako modificirane stanice vrate bolesniku, krvotokom se prenose u koštanu srž gdje počinju proizvoditi zdrave crvene krvne stanice koje proizvode beta-globin. Očekuje se da će učinci lijeka Zynteglo trajati tijekom cijelog bolesnikova života.

Koje su koristi od lijeka Zynteglo utvrđene u ispitivanjima?

U dvama glavnim ispitivanjima provedenima među bolesnicima s beta-talasemijom kojima je bila potrebna redovita transfuzija krvi, pokazalo se da se lijekom Zynteglo učinkovito smanjuje potreba za transfuzijama. U tim ispitivanjima, od 14 bolesnika koji nisu imali potpuni nedostatak beta-globina i koji su primili lijek Zynteglo, 11 bolesnika imalo je dovoljno visoku razinu crvenih krvnih stanica i nije im bila potrebna transfuzija najmanje godinu dana nakon liječenja.

Koji su rizici povezani s lijekom Zynteglo?

Dosad je lijekom Zynteglo liječen tek malen broj bolesnika, a najozbiljnija opažena nuspojava je trombocitopenija (niska razina krvnih pločica, koje pomažu u zgrušavanju krvi).

Zynteglo se ne smije primjenjivati u trudnica i dojilja, kao ni u bolesnika koji su prethodno primali gensku terapiju (lijek kojim se isporučuju geni). Liječnici trebaju razmotriti mogu li bolesnici primiti neophodne tretmane prije liječenja lijekom Zynteglo.

Potpuni popis ograničenja potražite u uputi o lijeku.

Zašto je lijek Zynteglo odobren u EU-u?

Beta-talasemija ovisna o transfuziji teška je bolest, a mogućnosti njezina liječenja su ograničene. Ispitivanja pokazuju da nakon jednokratne terapije lijekom Zynteglo većini bolesnika više nije potrebna transfuzija krvi kako bi se povisila razina funkcionalnih crvenih krvnih stanica. To znači da bolesnici mogu izbjeći prekomjerno gomilanje željeza koje se javlja zbog redovitih transfuzija i koje isto tako iziskuje liječenje.

S obzirom na sigurnost primjene lijeka valja napomenuti da, budući da se Zynteglo proizvodi pomoću virusa, postoji teoretski rizik od raka uslijed neželjenih promjena genetskog materijala. Međutim, takvi slučajevi dosad nisu zabilježeni. Isto tako, postoji i potencijalni rizik od krvarenja budući da lijek može prouzročiti pad broja krvnih pločica. Međutim, postoje mjere za praćenje takvih događaja putem registra bolesnika i dugoročnog ispitivanja radi procjene dugoročnih ishoda liječenja u bolesnika.

Iako su informacije o sigurnoj primjeni lijeka ograničene zbog malog broja dosad liječenih bolesnika i nedostatka dugoročnih podataka, Europska agencija za lijekove zaključila je da koristi od lijeka Zynteglo nadmašuju s njim povezane rizike i da lijek može biti odobren za primjenu u Europskoj uniji.

Za lijek Zynteglo izdano je „uvjetno odobrenje“. To znači da se očekuju dodatni podatci o lijeku koje tvrtka mora dostaviti. Svake godine Europska agencija za lijekove procjenjuje sve nove informacije koje postanu dostupne te se ovaj pregled informacija po potrebi ažurira.

Koje se još informacije očekuju o lijeku Zynteglo?

Budući da je za lijek Zynteglo izdano uvjetno odobrenje, tvrtka koja ga stavlja u promet dostavit će rezultate ispitivanja u tijeku kako bi se dodatno procijenila učinkovitost i sigurnost primjene lijeka.

Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Zynteglo?

Tvrtka koja lijek Zynteglo stavlja u promet dostavit će zdravstvenim radnicima za koje se očekuje da će primjenjivati lijek edukacijske materijale s informacijama o sigurnosti lijeka, uključujući i informacije o potencijalnim rizicima od raka i krvarenja, te o načinu primjene lijeka. Bolesnici će dobiti vodič i karticu koju trebaju nositi sa sobom. Uz to, tvrtka će zajamčiti da se lijek isporučuje samo u kvalificiranim centrima za liječenje.

Tvrtka će dostaviti i podatke iz registra bolesnika liječenih lijekom Zynteglo kako bi se omogućilo ispitivanje njegove dugoročne sigurne primjene i učinkovitosti, kao i dodatne podatke o testiranjima provedenima tijekom faze proizvodnje lijeka s ciljem osiguranja kvalitete.

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati u cilju sigurne i učinkovite primjene lijeka Zynteglo također se nalaze u sažetku opisa svojstava i u uputi o lijeku.

Kao i za sve lijekove, podatci o primjeni lijeka Zynteglo kontinuirano se prate. Nuspojave prijavljene za lijek Zynteglo pažljivo se procjenjuju i poduzimaju se potrebne mjere za zaštitu bolesnika.

Ostale informacije o lijeku Zynteglo

Više informacija o lijeku Zynteglo nalazi se na internetskim stranicama Agencije: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zynteglo.

Lijek koji više nije odobren