



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zynteglo (béta-A-T87Q-globin gént kódoló autológ CD34+ sejtek)

A Zynteglo-ra vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

Milyen típusú gyógyszer a Zynteglo és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Zynteglo-t a béta-talasszémia nevű vérbetegség kezelésére alkalmazzák olyan, 12 éves és idősebb betegeknek, akik rendszeres vérátömlesztésre szorulnak.

Az ilyen genetikai betegségben szenvedő emberek nem képesek elég béta-globint – a hemoglobin egyik alkotóelemét –, vagyis azt a vörösvérsejtekben lévő fehérjét előállítani, ami a szervezetben az oxigént szállítja. Emiatt ezeknek a betegeknek alacsony a vörösvérsejtszáma, és gyakori vérátömlesztésre van szükségük.

A Zynteglo-t olyan betegeknek alkalmazzák, akiknek a szervezetéből nem hiányzik teljesen a béta-globin, és akik alkalmasak őssejt átültetésre, de nincs alkalmas, rokon donor.

Mivel a béta-talasszémia „ritkának” minősül, ezért a Zynteglo-t 2013. január 24-én „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről itt található: ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu3121091

A Zynteglo hatóanyaga a beteg saját őssejtjeiből áll, amelyeket genetikailag úgy módosítottak, hogy tartalmazzák a béta-globin működő génjét.

Hogyan kell alkalmazni a Zynteglo-t?

A Zynteglo-t minden egyes beteg esetében egyedileg állítják elő a beteg saját véréből származó őssejtek felhasználásával, és kizárólag annak a betegnek adható, akinek készült. Vénás infúzió formájában alkalmazzák, az adag a beteg testtömegétől függ.

A Zynteglo alkalmazása előtt a beteg kondicionáló kemoterápiában részesül annak érdekében, hogy csontvelőjét megtisztítsák a sejtektől.



A Zynteglo csak receptre kapható, és engedéllyel rendelkező központban, az őssejt-transzplantációban és a béta-talasszémia kezelésében jártas szakorvosnak kell beadnia. A Zynteglo alkalmazásával kapcsolatos további információért olvassa el a betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

Hogyan fejt ki hatását a Zynteglo?

A Zynteglo előállításához a beteg véréből vett őssejteket egy vírussal módosítják, amely a béta-globin működő kópiáit a sejtekbe szállítja. Amikor a beteg visszakapja ezeket a módosított sejteket, azok a véráramba kerülve eljutnak a csontvelőhöz, ahol egészséges, béta-globint termelő vörösvérsejteket állítanak elő. A Zynteglo hatása várhatóan a beteg élete végéig kitart.

Milyen előnyei voltak a Zynteglo alkalmazásának a vizsgálatok során?

A Zynteglo 2 fő vizsgálatban hatásosnak bizonyult a vérátömlesztés szükségességének csökkentésében olyan, béta-talasszémiában szenvedő betegeknél, akik rendszeres vérátömlesztésre szorultak. Ezekbe a vizsgálatokba 14 olyan beteget vontak be, akiknek a szervezete termelt valamennyi béta-globint. A Zynteglo-kezelést követően közülük 11 beteg kellően magas vörösvérsejtszámmal rendelkezett, így a kezelést követő legalább egy éven át nem volt szüksége vérátömlesztésre.

Milyen kockázatokkal jár a Zynteglo alkalmazása?

A mai napig kevés beteget kezeltek Zynteglo-val, és a megfigyelt legsúlyosabb mellékhatás a trombocitopénia (a véralvadást segítő vérlemezék számának alacsony szintje) volt.

A Zynteglo nem alkalmazható terhes vagy szoptató nőknél, és olyan betegeknél, akik korábban részesültek génterápiában (olyan gyógyszer, amely géneket juttat a szervezetbe). A kezelőorvosoknak mérlegelniük kell, hogy a betegek meghaphatják-e a Zynteglo alkalmazásához szükséges előzetes kezeléseket.

A korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Miért engedélyezték a Zynteglo forgalomba hozatalát az EU-ban?

A transzfúziófüggő béta-talasszémia súlyos betegség, amelynek kezelési lehetőségei korlátozottak. A vizsgálatok azt mutatják, hogy a Zynteglo-val végzett egyszeri kezelést követően a legtöbb betegnek többé nem lesz szüksége vérátömlesztésre a működő vörösvérsejtek számának növeléséhez. Ez azt jelenti, hogy a betegek elkerülhetik a rendszeres vérátömlesztéssel járó túlzott vasfelhalmozódást, amely önmagában is kezelést igényel.

A biztonságosságot illetően, mivel a Zynteglo-t egy vírus felhasználásával állítják elő, a genetikai anyag nem szándékos módosítása által okozott daganat elméleti kockázata állhat fenn, bár eddig ilyen eset nem fordult elő. Fennáll a potenciális vézés kockázata is, mivel a gyógyszer a vérlemezék számának csökkenését okozhatja. Az ilyen események ellenőrzésére azonban egy betegnyilvántartás segítségével intézkedések lépnek életbe, és hosszú távú vizsgálatot is folytatnak a betegek későbbi állapotának felmérése céljából.

Bár a mostanáig kezelt betegek kis száma és a hosszú távú adatok hiánya miatt kevés információ áll rendelkezésre a gyógyszer biztonságosságára vonatkozóan, az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a Zynteglo alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer forgalombahozatali engedélye az EU-ban kiadható.

A Zynteglo-t „feltételes forgalombahozatali engedéllyel” engedélyezték. Ez azt jelenti, hogy a gyógyszerrel kapcsolatban további tudományos bizonyítékok várhatók, amelyek benyújtására kötelezték a vállalatot. Az Európai Gyógyszerügynökség évente felülvizsgál minden újonnan hozzáférhető információt, és szükség esetén aktualizálja ezt az áttekintést.

Milyen információk várhatók még a Zynteglo-val kapcsolatban?

Mivel a Zynteglo forgalomba hozatalát feltételes forgalombahozatali engedéllyel engedélyezték, a Zynteglo-t forgalmazó vállalat rendelkezésre bocsátja a folyamatban lévő vizsgálatok eredményeit a gyógyszer hatásosságának és biztonságosságának további értékelése céljából.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Zynteglo biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Zynteglo-t forgalmazó vállalat oktatóanyagot fog biztosítani azon egészségügyi szakemberek számára, akik várhatóan alkalmazni fogják a gyógyszert. Az oktatóanyag a gyógyszer biztonságosságával – többek között a daganatok és a vérzés potenciális kockázatával –, és a gyógyszer alkalmazásával kapcsolatos információkat tartalmaz. A betegek is kapnak egy útmutatót és egy kártyát, amelyet maguknál kell tartaniuk. A vállalat emellett gondoskodik arról, hogy a gyógyszert kizárólag az engedéllyel rendelkező központokban alkalmazzák.

A vállalat emellett rendelkezésre bocsátja a Zynteglo-kezelésben részesülő betegek adatait a nyilvántartásból a gyógyszer hosszú távú biztonságosságának és hatásosságának vizsgálata céljából, illetve minőségbiztosítási célokból további adatokat szolgáltat a gyógyszer előállításának során végzett vizsgálatokkal kapcsolatban.

A Zynteglo biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések szintén feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

A Zynteglo alkalmazásával kapcsolatos információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan monitorozzák. A Zynteglo alkalmazásával összefüggésben jelentett mellékhatásokat gondosan értékelik, és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

A Zynteglo-val kapcsolatos egyéb információ

A Zynteglo-ra vonatkozó további információ az Európai Gyógyszerügynökség weboldalán található: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zynteglo.