



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Zynteglo (*autologinės CD34+ ląstelės, koduojančios βA-T87Q-globino geną*)

Zynteglo apžvalga ir kodėl jis buvo registruotas Europos Sąjungoje (ES)

### Kas yra Zynteglo ir kam jis vartojamas?

Zynteglo – tai vaistas, skiriamas kraujo ligai, vadinamai beta talasemija, gydyti pacientams nuo 12 metų, kuriems reikia reguliariai perpilti kraują.

Šia genetinė liga sergančių žmonių organizmas negamina pakankamai beta globino – hemoglobino komponento, deguonį organizme išnešiojančio raudonųjų kraujo ląstelių baltymo. Todėl šių pacientų kraujyje yra mažas raudonųjų kraujo ląstelių kiekis ir jiems reikia dažnai perpilti kraują.

Zynteglo skiriamas pacientams, kurių organizme yra šiek tiek beta globino kiekis ir kuriems galima persodinti kamienines ląsteles, bet neatsiranda tinkamas donoras.

Beta talasemija laikoma reta liga, todėl 2013 m. sausio 24 d. Zynteglo buvo priskirtas „retųjų vaistų“ (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai. Daugiau informacijos apie priskyrimą retiesiems vaistams rasite čia: [ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu3121091](http://ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu3121091).

Zynteglo sudėtyje esanti veiklioji medžiaga – tai iš pacientų organizmo paimtos kamieninės ląstelės, kurios buvo genetiškai modifikuotos įterpiant veikiantį beta globino geną.

### Kaip vartoti Zynteglo?

Zynteglo yra atskirai kiekvienam pacientui iš jo kraujo kamieninių ląstelių pagamintas preparatas, kuris turi būti skiriamas tik konkrečiam pacientui. Vaistas vartojamas infuzijos būdu (lašinamas į veną), o jo dozė priklauso nuo paciento kūno svorio.

Prieš vartojant Zynteglo, pacientui taikomas parengiamasis gydymas chemoterapiniais vaistais, siekiant iš kaulų čiulpų pašalinti ląsteles.

Zynteglo galima įsigyti tik pateikus receptą. Šį vaistą patvirtintame gydymo centre gali skirti gydytojas, turintis kamieninių ląstelių persodinimo ir beta talasemijos gydymo patirties. Daugiau informacijos apie Zynteglo vartojimą ieškokite pakuotės lapelyje arba kreipkitės į gydytoją arba vaistininką.



## Kaip veikia Zynteglo?

Gaminant Zynteglo iš paciento kraujo paimtos kamieninės ląstelės modifikuojamos virusu, kuris į jas perkelia veikiančias beta globino geno kopijas. Į paciento organizmą sugražintos modifikuotos ląstelės per kraujotaką patenka į kaulų čiulpus, kur pradeda gaminti sveikas raudonąsias kraujo ląsteles, išskiriančias beta globiną. Tikimasi, kad gydymo Zynteglo poveikis išliks visą paciento gyvenimą.

## Kokia Zynteglo nauda nustatyta tyrimų metu?

2 pagrindiniuose tyrimuose su beta talasemija sergančiais pacientais, kuriems reikėjo reguliariai perpilti kraują, nustatyta, kad Zynteglo veiksmingai mažina kraujo perpylimo poreikį. Šiuose tyrimuose iš 14 Zynteglo vartojusių pacientų, kurių kraujyje buvo nedidelis beta globinų kiekis, 11 pacientų kraujyje susidarė pakankama raudonųjų kraujo ląstelių koncentracija, todėl bent 1 metus po gydymo kraujo perpylimas nebuvo reikalingas.

## Kokia rizika susijusi su Zynteglo vartojimu?

Iki šiol Zynteglo buvo gydoma nedaug pacientų, o sunkiausias pastebėtas šalutinis poveikis yra trombocitopenija (sumažėjęs trombocitų, kraujo krešėjimą skatinančių dalelių kiekis).

Zynteglo negalima vartoti nėščioms ar žindančioms moterims ir pacientams, kuriems anksčiau buvo taikyta genų terapija (genus pernešantys vaistai). Gydytojai turi įvertinti, ar prieš pradėdant vartoti Zynteglo pacientams galima skirti reikiamą išankstinį gydymą.

Išsamų visų apribojimų sąrašą rasite pakuotės lapelyje.

## Kodėl Zynteglo buvo registruotas ES?

Kraujo perpylimo reikalaujanti beta talasemija – sunki liga, kurios gydymo galimybės ribotos. Tyrimai rodo, kad po vienkartinės Zynteglo dozės daugumai pacientų nebereikia kraujo perpylimo, kuris padidina veikiančių raudonųjų kraujo ląstelių kiekį. Tai reiškia, kad pacientai gali išvengti pernelyg didelės geležies koncentracijos, kuri susidaro reguliariai perpilant kraują ir reikalauja atskiro gydymo.

Kadangi gaminant Zynteglo naudojamas virusas, dėl nenumatytų genetinės medžiagos pokyčių, pacientams gali kilti teorinė vėžio rizika, nors ligi šiol tokių atvejų nenumatyta. Taip pat yra kraujavimo rizika, nes vartojant šį vaistą gali sumažėti trombocitų koncentracija. Tačiau pasinaudojant pacientų registru taikomas tokių reiškinų stebėjimo priemonės ir vykdomas ilgalaikis tyrimas, kuriame vertinamas ilgalaikis vaisto poveikis pacientų sveikatai.

Nors informacijos apie vaisto saugumą yra nedaug, nes iki šiol gydytų pacientų yra mažai ir trūksta ilgalaikių duomenų, Europos vaistų agentūra nusprendė, kad Zynteglo teikiama nauda yra didesnė už jo keliamą riziką ir jis gali būti registruotas vartoti ES.

Zynteglo registracija yra sąlyginė. Tai reiškia, kad ateityje apie šį vaistą bendrovė privalės pateikti daugiau duomenų. Europos vaistų agentūra kasmet peržiūrės visą naujai gautą informaciją ir, prireikus, atnaujins šią santrauką.

## Kokia informacija dar turi būti pateikta apie Zynteglo?

Kadangi Zynteglo registracija yra sąlyginė, šiuo vaistu prekiaujanti bendrovė atliks vykdomų tyrimų rezultatus, kurie leis geriau įvertinti vaisto veiksmingumą ir saugumą.

## **Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Zynteglo vartojimą?**

Zynteglo prekiaujanti bendrovė parengs mokomąją medžiagą vaistą skirsiantiems sveikatos priežiūros specialistams, kurioje bus pateikta informacija apie vaisto saugumą, įskaitant galimą vėžio ir kraujavimo riziką, ir apie vaisto skyrimo būdus. Pacientams taip pat bus išduotas vadovas ir kortelė, kurią jie turi nešiotis su savimi. Be to, bendrovė užtikrins, kad vaistas būtų tiekiamas tik iš patvirtintų centrų.

Bendrovė taip pat pateiks Zynteglo gydytų pacientų registro duomenis, kurie leis ištirti vaisto ilgalaikę saugą ir veiksmingumą, taip pat daugiau duomenų apie tyrimus, atliktus gaminant šį vaistą, kad būtų užtikrinta jo kokybė.

Į preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį įtrauktos saugaus ir veiksmingo Zynteglo vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kaip ir visų vaistų, Zynteglo vartojimo duomenys yra nuolatos stebimi. Zynteglo šalutinis poveikis yra kruopščiai vertinamas ir imamasi visų reikiamų priemonių pacientams apsaugoti.

## **Kita informacija apie Zynteglo**

Daugiau informacijos apie Zynteglo rasite Agentūros tinklalapyje adresu: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zynteglo](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zynteglo).