



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zynteglo (*autologas CD34+ šūnas, kas kodē β A-T87D globīna gēnu*)

Zynteglo pārskats un kāpēc tās ir reģistrētas ES

Kas ir Zynteglo un kāpēc tās lieto?

Zynteglo ir zāles, ko lieto, lai ārstētu asins saslimšanu, ko sauc par beta-talasēmiju, pacientiem no 12 gadu vecuma, kuriem nepieciešamas regulāras asins transfūzijas.

Cilvēkiem ar šo ģenētisko slimību netiek pietiekamā daudzumā sintezēta hemoglobīna sastāvdaļa beta-globīns, t. i., sarkano asins šūnu olbaltumviela, kas apgādā organismu ar skābekli. Rezultātā šiem pacientiem ir zems sarkano asins šūnu līmenis un bieži ir nepieciešamas asins transfūzijas.

Zynteglo tiek lietotas pacientiem, kuriem nav pilnīgs beta-globīna deficīts un kuriem ir piemērota cilmes šūnu transplantācija, bet kuriem nav attiecīgi piemērota donora.

Beta-talasēmija ir reta slimība, un 2013. gada 24. janvārī Zynteglo tika piešķirts reti sastopamu slimību ārstēšanai paredzētu zāļu statuss. Sīkāka informācija par retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu statusa piešķiršanu ir atrodamā: ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu3121091.

Zynteglo kā aktīvo vielu satur cilmes šūnas, kas ņemtas no pacientiem un ģenētiski modificētas, lai tajās būtu funkcionējošs gēns beta-globīna sintēzei.

Kā lieto Zynteglo?

Zynteglo katram pacientam tiek gatavotas individuāli no cilmes šūnām, kas savāktas no viņa asinīm, un tās ir jādod tikai tam pacientam, kuram tās ir gatavotas. Tās tiek ievadītas vēnā kā infūzija (pilienu veidā), un deva ir atkarīga no pacienta ķermeņa masas.

Pirms Zynteglo ievadīšanas pacients saņem kondicionējošu ķīmijterapiju kaulu smadzeņu atbrīvošanai no šūnām.

Zynteglo var iegādāties tikai pret recepti, un tikai ārsts ar pieredzi cilmes šūnu pārstādīšanā un beta-talasēmijas ārstēšanā drīkst tās ievadīt sertificētā centrā. Papildu informāciju par Zynteglo lietošanu skatīt zāļu lietošanas instrukcijā vai jautāt ārstam vai farmaceitam.



Kā Zynteglo darbojas?

Zynteglo pagatavošanai no pacienta asinīm ņemtās cilmes šūnas tiek modificētas ar vīrusu, kas pārnes šūnās beta-globīna gēna funkcionējošas kopijas. Kad pacients saņem atpakaļ šīs modificētās šūnas, tās ar asins plūsmu tiek nogādātas kaulu smadzenēs, kur tās sāk ražot veselās sarkanās asins šūnas, kas sintezē beta-globīnu. Sagaidāms, ka Zynteglo iedarbība ilgst visu pacienta mūžu.

Kādi Zynteglo ieguvumi atklāti pētījumos?

Divos pamatpētījumos pierādīja Zyntegloefektivitāti, samazinot asins transfūziju nepieciešamību beta-talasēmijas pacientiem, kuriem vajadzīgas regulāras asins transfūzijas. Šajos pētījumos no 14 pacientiem, kuriem nebija pilnīga beta-globīna deficīta un kuriem deva Zynteglo, 11 pacientiem bija pietiekami augsts sarkano asins šūnu līmenis, tādēļ viņiem vismaz vienu gadu pēc terapijas nebija vajadzīgas asins transfūzijas.

Kāds risks pastāv, lietojot Zynteglo?

Līdz šim ar Zynteglo ir ārstēti neliels pacientu skaits, un visbiežāk novērotās blakusparādības ir trombocitopēnija (zems trombocītu, t. i., sastāvdaļu, kas palīdz asinīm sarecēt, līmenis).

Zynteglo nedrīkst lietot grūtniecēm vai sievietēm, kuras baro bērnu ar krūti, kā ar pacientiem, kuriem iepriekš veikta ārstēšana ar gēnu terapiju (zālēm, kas piegādā gēnus). Ārātiem ir jāizvērtē, vai pirms Zynteglo pacientiem var dot nepieciešamās iepriekšējās terapijas.

Pilnu ierobežojumu sarakstu skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

Kāpēc Zynteglo ir reģistrētas ES?

No transfūzijas atkarīga beta-talasēmija ir smaga slimība ar ierobežotām ārstēšanas iespējām. Pētījumi parāda, ka pēc vienreizējas Zynteglo terapijas lielākajai pacientu daļai vairs nav vajadzīgas asins transfūzijas funkcionējošo sarkano asins šūnu līmeņa paaugstināšanai. Tas nozīmē, ka pacienti var izvairīties no dzelzs pārmērīgas uzkrāšanās, kas rodas, regulāri pārlejot asinis, un kam pašai par sevi vajadzīga ārstēšana.

Tā kā Zynteglo tiek ražotas, izmantojot vīrusu, attiecībā uz drošumu varētu pastāvēt teorētisks vēža risks sakarā ar neplānotām izmaiņām ģenētiskajā materiālā, kaut līdz šim tādu gadījumu nav bijis. Pastāv arī potenciālas asiņošanas risks, jo zāles var izraisīt trombocītu skaita samazināšanos. Tomēr tiek veikti pasākumi šādu komplikāciju uzraudzībai, izmantojot pacientu reģistru un ilgtermiņa pētījumu ilgtermiņa ieguvumu novērtēšanai pacientiem.

Lai gan informācija par zāļu drošumu ir ierobežota sakarā ar līdz šim ārstēto nelielo pacientu skaitu un ilgtermiņa datu trūkumu, Eiropas Zāļu aģentūra nolēma, ka ieguvums, lietojot Zynteglo, pārsniedz šo zāļu radīto risku un zāles var reģistrēt lietošanai ES.

Zynteglo ir reģistrētas "ar nosacījumiem". Tas nozīmē, ka ir sagaidāmi papildu dati par šīm zālēm, kas uzņēmumam ir jāiesniedz. Eiropas Zāļu aģentūra katru gadu pārbaudīs visu jauniegūto informāciju un vajadzības gadījumā atjauninās šo kopsavilkumu.

Kāda informācija par Zynteglo vēl ir sagaidāma?

Tā kā Zynteglo ir reģistrētas ar nosacījumiem, uzņēmums, kas piedāvā tirgū Zynteglo, iesniegs pašreiz notiekošo pētījumu rezultātus, lai papildus novērtētu zāļu efektivitāti un drošumu.

Kas tiek darīts, lai garantētu drošu un efektīvu Zynteglo lietošanu?

Uzņēmums, kas piedāvā tirgū Zynteglo, nodrošinās veselības aprūpes speciālistiem, kuri, domājams, lietos šīs zāles, izglītojošus materiālus ar informāciju par to drošumu, tostarp potenciālo vēža un asiņošanas risku, kā arī ievadīšanas veidu. Pacienti arī saņems rokasgrāmatu un kartīti, kas jānēsā līdzī. Turklāt uzņēmums nodrošinās zāļu piegādi tikai no sertificētiem centriem.

Uzņēmums nodrošinās arī datus no ar Zyntegloārstēto pacientu reģistra, lai pētītu zāļu ilgtermiņa drošumu un efektivitāti, kā arī papildu datus par testiem, kas izmantoti zāļu ražošanā to kvalitātes nodrošināšanai.

Turklāt zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā tika ietverti ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem, lai garantētu drošu un efektīvu Zynteglo lietošanu.

Tāpat kā par visām zālēm, dati par Zynteglo lietošanu tiek pastāvīgi uzraudzīti. Zinotās ar Zynteglo lietošanu saistītās blakusparādības tiek rūpīgi izvērtētas, un tiek veikti visi pacientu aizsardzībai nepieciešamie pasākumi.

Cita informācija par Zynteglo

Sīkāka informācija par Zynteglo ir atrodama aģentūras tīmekļa vietnē: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zynteglo.