



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Zynteglo (*autológne bunky CD34+ kódujúce gén $\beta$ A-T87Q-globínu*)

Prehľad o lieku Zynteglo a prečo bol povolený v EÚ

### Čo je liek Zynteglo a na čo sa používa?

Liek Zynteglo je liek používaný na liečbu ochorenia krvi známeho ako  $\beta$ -talasémia u pacientov vo veku od 12 rokov, ktorí potrebujú pravidelné krvné transfúzie.

Ľudia s týmto genetickým ochorením nedokážu vytvárať dostatočné množstvo beta-globínu, zložky hemoglobínu, čo je zasa bielkovina v červených krvinkách prenášajúca v tele kyslík. V dôsledku toho majú títo pacienti nízke hladiny červených krviniek a potrebujú časté krvné transfúzie.

Liek Zynteglo sa používa u pacientov, ktorým beta-globín nechýba úplne a pre ktorých je vhodná transplantácia kmeňových buniek, avšak nemajú k dispozícii zodpovedajúceho darcu.

$\beta$ -talasémia je zriedkavé ochorenie, a preto bol liek Zynteglo 24. januára 2013 označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia (liek používaný na zriedkavé ochorenia). Ďalšie informácie o označení lieku za liek na ojedinelé ochorenia môžete nájsť tu: [ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu3121091](http://ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu3121091).

Liečivom lieku Zynteglo sú kmeňové bunky, ktoré boli odobrané pacientom, a potom boli geneticky modifikované, aby obsahovali funkčný gén pre beta-globín.

### Ako sa liek Zynteglo používa?

Liek Zynteglo sa vyrába pre každého pacienta zvlášť, a to z kmeňových buniek odobratých z jeho krvi a smie sa podať iba tomu pacientovi, pre ktorého bol pripravený. Podáva sa vo forme infúzie (kvapkaním do žily) a dávka závisí od telesnej hmotnosti pacienta.

Pacient pred podaním lieku Zynteglo podstúpi prípravnú chemoterapiu na vyčistenie kostnej drene od buniek.

Výdaj lieku Zynteglo je viazaný na lekársky predpis a liek má vo schválenom stredisku podávať lekár, ktorý má skúsenosti s transplantáciou kmeňových buniek a liečbou  $\beta$ -talasémie. Viac informácií o používaní lieku Zynteglo si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárnik.



## **Akým spôsobom liek Zynteglo účinkuje?**

Liek Zynteglo sa vyrába tak, že sa kmeňové bunky odoberú z krvi pacienta, a potom sú modifikované prostredníctvom vírusu, ktorý prenáša funkčné kópie beta-globínového génu do buniek. Keď sú tieto modifikované bunky podané pacientovi, krvným obehom sú prenesené do kostnej drene, kde začnú vyrábať zdravé červené krvinky, ktoré produkujú beta-globín. Predpokladá sa, že účinok lieku Zynteglo bude pretrvávajúť počas celého života pacienta.

## **Aké prínosy lieku Zynteglo boli preukázané v štúdiách?**

Účinnosť lieku Zynteglo pri znižovaní potreby transfúzie krvi sa preukázala v 2 hlavných štúdiách u pacientov s  $\beta$ -talasémiou, ktorí potrebovali pravidelné krvné transfúzie. V týchto štúdiách zo 14 pacientov, ktorým beta-globín nechýbal úplne a ktorým bol podávaný liek Zynteglo, vykazovalo 11 pacientov dostatočne vysokú hladinu červených krviniek, vďaka čomu nepotrebovali krvné transfúzie počas obdobia minimálne jedného roku po liečbe.

## **Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Zynteglo?**

Liekom Zynteglo bolo dosiaľ liečených len málo pacientov a najväčším pozorovaným vedľajším účinkom bola trombocytopenia (nízke hladiny krvných doštičiek, čo sú zložky krvi, ktoré pomáhajú pri jej zrážaní).

Liek Zynteglo sa nesmie podávať tehotným ani dojčiacim ženám ani pacientom, ktorí v minulosti podstúpili liečbu génovou terapiou (liekom, ktorý do tela dodáva gény). Lekári majú zvážiť, či môžu pacienti podstúpiť požadovanú prípravnú liečbu, ktorá je potrebná pred podaním lieku Zynteglo.

Zoznam všetkých obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

## **Prečo bol liek Zynteglo povolený v EÚ?**

$\beta$ -talasémia závislá od transfúzie je závažné ochorenie s obmedzenými možnosťami liečby. Zo štúdií vyplynulo, že po jednorazovej liečbe liekom Zynteglo väčšina pacientov už nepotrebuje krvné transfúzie na zvýšenie hladín funkčných červených krviniek. Znamená to, že u pacientov možno predchádzať nadmernému hromadeniu železa, ku ktorému dochádza pri pravidelných transfúziách a ktoré si samo osebe vyžaduje liečbu.

Vzhľadom na to, že sa liek Zynteglo vyrába pomocou vírusu, v súvislosti s bezpečnosťou existuje možné teoretické riziko vzniku rakoviny zapríčinené nežiaducimi zmenami v genetickom materiáli, hoci žiadne takéto prípady sa doteraz nepozorovali. Existuje takisto potenciálne riziko krvácania, pretože tento liek môže spôsobiť zníženie množstva krvných doštičiek. Zavedené sú však opatrenia na sledovanie týchto príhod, a to prostredníctvom registra pacientov a dlhodobej štúdie, ktorou sa majú posúdiť dlhodobé výsledky štúdie.

Hoci informácie o bezpečnosti lieku sú obmedzené v dôsledku toho, že liekom bolo liečených dosiaľ len málo pacientov a že dlhodobé údaje neexistujú, Európska agentúra pre lieky rozhodla, že prínos lieku Zynteglo je väčší ako riziká a že liek môže byť povolený na používanie v EÚ.

Liek Zynteglo bol povolený s tzv. podmienkou. To znamená, že sa čaká na ďalšie dôkazy o lieku, ktoré musí spoločnosť predložiť. Európska agentúra pre lieky každý rok prehodnocuje všetky nové dostupné informácie a podľa potreby aktualizuje tento súhrn.

## **Aké informácie o lieku Zynteglo dosiaľ neboli predložené?**

Keďže liek Zynteglo bol povolený tzv. s podmienkou, spoločnosť, ktorá liek Zynteglo uvádza na trh, predloží výsledky prebiehajúcich štúdií na ďalšie posúdenie účinnosti a bezpečnosti lieku.

## **Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Zynteglo?**

Spoločnosť, ktorá uvádza liek Zynteglo na trh poskytne zdravotníckym pracovníkom, o ktorých sa predpokladá, že budú liek používať, vzdelávacie materiály s informáciami o jeho bezpečnosti vrátane potenciálnych rizík vzniku rakoviny a krvácania, ako aj o spôsobe, ako sa má podávať. Pacienti dostanú aj pokyny a kartičku, ktorú majú nosiť so sebou. Okrem toho spoločnosť zaistí, aby bol liek podávaný len vo schválených strediskách.

Spoločnosť takisto poskytne údaje z registra pacientov liečených liekom Zynteglo, aby sa preštudovala jeho dlhodobá bezpečnosť a účinnosť, ako aj ďalšie údaje o testoch použitých pri výrobe tohto prípravku, a to za účelom zaistenia ich kvality.

Na bezpečné a účinné používanie lieku Zynteglo boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté aj odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o používaní lieku Zynteglo sa neustále kontrolujú. Vedľajšie účinky hlásené pri lieku Zynteglo sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

## **Ďalšie informácie o lieku Zynteglo**

Ďalšie informácie o lieku Zynteglo sa nachádzajú na webovej stránke agentúry: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zynteglo](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zynteglo).