



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zynteglo (*avtologne celice CD34+, ki kodirajo gen za β A-T87Q-globin*)

Pregled zdravila Zynteglo in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Zynteglo in za kaj se uporablja?

Zynteglo je zdravilo, ki se uporablja za zdravljenje krvnih motenj, znanih kot beta talasemija, pri bolnikih, starih 12 let in več, ki potrebujejo redno transfuzijo krvi.

Ljudje s to genetsko boleznijo ne morejo proizvajati dovolj beta-6globina, sestavine hemoglobina, tj. beljakovine v rdečih krvnih celicah, ki prenaša kisik po telesu. Zato imajo ti bolniki nizke ravni rdečih krvnih celic in potrebujejo pogoste transfuzije krvi.

Zdravilo Zynteglo se uporablja pri bolnikih, ki niso povsem brez beta globina in so primerni za presaditev matičnih celic, vendar nimajo ustreznega darovalca.

Beta talasemija je redka bolezen, zato je bilo zdravilo Zynteglo 24. januarja 2013 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni). Nadaljnje informacije glede določitve zdravila sirote lahko najdete tukaj: ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu3121091.

Zdravilo Zynteglo vsebuje kot učinkovino matične celice bolnikov, ki so bile genetsko spremenjene tako, da vsebujejo delujoči gen za beta globin.

Kako se zdravilo Zynteglo uporablja?

Zdravilo Zynteglo je izdelano za vsakega bolnika posebej iz matičnih celic, pridobljenih iz njihove krvi, zato se mora dajati samo tistemu bolniku, za katerega je bilo izdelano. Daje se z infundiranjem (kapalno infuzijo) v veno, odmerek pa je odvisen od telesne mase bolnika.

Pred zdravljenjem z zdravilom Zynteglo bo bolnik prejel pripravljalno zdravljenje s kemoterapijo za odstranitev celic kostnega mozga.

Predpisovanje in izdaja zdravila Zynteglo je le na recept, daje pa ga lahko samo zdravnik z izkušnjami s presaditvijo matičnih celic in zdravljenjem beta talasemije v specializirani zdravstveni ustanovi. Za več informacij glede uporabe zdravila Zynteglo glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.



Kako zdravilo Zynteglo deluje?

Za izdelavo zdravila Zynteglo se matične celice, odvzete iz bolnikove krvi, spremenijo s pomočjo virusa, ki v celice vnese delujoče kopije beta-globina. Ko se te spremenjene celice vrnejo bolniku, se prenesejo iz krvnega obtoka v krvni mozeg, kjer začnejo proizvajati zdrave rdeče krvne celice, ki tvorijo beta-globin. Pričakovano je, da učinki zdravila Zynteglo trajajo vse bolnikovo življenje.

Kakšne koristi zdravila Zynteglo so se pokazale v študijah?

V dveh glavnih študijah pri bolnikih z beta talasemijo, ki so potrebovali redne transfuzije krvi, je bilo dokazano, da je zdravilo Zynteglo učinkovito pri zmanjševanju potrebe po transfuziji krvi. V teh študijah je imelo izmed 14 bolnikov, ki jim ni v celoti primanjkovalo beta-globina in so prejeli zdravilo Zynteglo, 11 bolnikov dovolj visoke ravni rdečih krvnih celic, tako da vsaj eno leto po zdravljenju niso potrebovali transfuzije krvi.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Zynteglo?

Do danes je bilo z zdravilom Zynteglo zdravljenih le manjše število bolnikov. Najresnejši opaženi neželeni učinek je trombocitopenija (nizka raven trombocitov, sestavine v krvi, ki sodeluje pri strjevanju krvi).

Zdravilo Zynteglo se ne sme uporabljati pri nosečnicah ali ženskah, ki dojijo, ter pri bolnikih, ki so v preteklosti že bili zdravljeni z genskim zdravljenjem (zdravilom, ki prenese gene v telo). Zdravniki morajo proučiti, ali lahko bolniki pred zdravljenjem z zdravilom Zynteglo prejmejo predhodno pripravljeno zdravljenje.

Za celoten seznam omejitev glejte navodilo za uporabo.

Zakaj je bilo zdravilo Zynteglo odobreno v EU?

Od transfuzije odvisna beta talasemija je huda bolezen, za katero so na voljo omejene možnosti zdravljenja. Študije kažejo, da večina bolnikov z enkratnim zdravljenjem z zdravilom Zynteglo ne potrebuje več transfuzije krvi, da bi povečali svojo raven delujočih rdečih krvnih celic. To pomeni, da se lahko bolniki izognejo prenasičenosti z železom, ki nastane zaradi kroničnih transfuzij in ki sama po sebi zahteva zdravljenje.

Ker se zdravilo Zynteglo izdelava s pomočjo virusa, obstaja z vidika varnosti teoretično tveganje za nastanek raka zaradi nenačrtovanih sprememb genskega materiala, čeprav do zdaj tovrstnih primerov niso opazili. Poleg tega obstaja možno tveganje za krvavitve, saj lahko zdravilo povzroči padec ravni trombocitov. Vendar so bili vzpostavljeni ukrepi za spremljanje takih dogodkov s pomočjo registra bolnikov in dolgoročne študije za oceno dolgoročnega napredka.

Čeprav so informacije o varnosti zdravila omejene zaradi majhnega števila zdravljenih bolnikov doslej in pomanjkanja dolgoročnih podatkov, je Evropska agencija za zdravila zaključila, da so koristi zdravila Zynteglo večje od z njim povezanih tveganj in da se lahko odobri za uporabo v EU.

Zdravilo Zynteglo je pridobilo „pogojno dovoljenje za promet“. To pomeni, da se pričakujejo dodatni dokazi o zdravilu, ki jih mora zagotoviti podjetje. Evropska agencija za zdravila bo vsako leto ponovno pregledala vse nove podatke, ki bodo na voljo. Če bo potrebno, bo posodobljen tudi ta povzetek.

Katere informacije o zdravilu Zynteglo še pričakujemo?

Ker je zdravilo Zynteglo pridobilo pogojno dovoljenje za promet, bo podjetje, ki ga trži, zagotovilo rezultate potekajočih študij, s pomočjo katerih bo dodatno ocenilo učinkovitost in varnost zdravila.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Zynteglo?

Podjetje, ki trži zdravilo Zynteglo, bo priskrbelo izobraževalno gradivo za zdravstvene delavce, ki naj bi uporabljali zdravilo, ki bo vsebovalo informacije o njegovi varnosti, vključno z morebitnimi tveganji za nastanek raka in krvavitev, in načinu njegovega dajanja. Bolniki bodo prejeli tudi vodnik in opozorilno kartico, ki jo morajo imeti vedno pri sebi. Podjetje bo prav tako zagotovilo, da se zdravilo daje samo v odobrenih zdravstvenih centrih.

Hkrati bo predložilo podatke iz registra bolnikov, ki se zdravijo z zdravilom Zynteglo, s pomočjo katerih bo proučilo dolgoročno varnost in učinkovitost zdravila, ter dodatne podatke o testih, ki se uporabljajo pri proizvodnji zdravila, da se zagotovi njegova kakovost.

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Zynteglo upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni tudi v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Zynteglo stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Zynteglo, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

Druge informacije o zdravilu Zynteglo

Nadaljnje informacije o zdravilu Zynteglo so na voljo na spletni strani agencije: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zynteglo.