



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Zynteglo (*autologa CD34+ -celler som kodar $\beta$ A-T87Q-globingenen*)

Sammanfattning av Zynteglo och varför det är godkänt inom EU

### Vad är Zynteglo och vad används det för?

Zynteglo är ett läkemedel som används för att behandla en blodsjukdom som kallas beta-thalassemi hos patienter som är 12 år eller äldre och som behöver regelbundna blodtransfusioner.

Personer med detta genetiska tillstånd kan inte producera tillräcklig mycket betaglobin, en komponent i hemoglobin som är det protein i de röda blodkropparna som transporterar syre i kroppen. Till följd av detta har dessa patienter låga halter av röda blodkroppar och behöver blodtransfusioner ofta.

Zynteglo ges till patienter som inte helt saknar betaglobin och som kan komma ifråga för stamcellstransplantation, men som inte har en matchande donator.

Beta-thalassemi är sällsynt och Zynteglo klassificerades som sär läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 24 januari 2013. Mer information om klassificeringen som sär läkemedel finns här: [ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu3121091](http://ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu3121091).

Den aktiva substansen i Zynteglo utgörs av stamceller från patienten själv som har modifierats genetiskt för att innehålla en fungerande gen för betaglobin.

### Hur används Zynteglo?

Zynteglo framställs individuellt av stamceller som samlats in från patientens eget blod och läkemedlet får endast ges till den patient det tillverkats för. Zynteglo ges som en infusion (dropp) i en ven och dosen beror på patientens kroppsvikt.

Innan Zynteglo ges ska patienten få konditioneringsbehandling med kemoterapi för att rensa benmärgen från celler.

Zynteglo är receptbelagt och måste ges vid ett godkänt centrum av en läkare med erfarenhet av stamcellstransplantation och av behandling av beta-thalassemi. För mer information om hur du använder Zynteglo, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.



## Hur verkar Zynteglo?

För att tillverka Zynteglo modifieras de stamceller som tagits från patientens blod av ett virus som överför fungerande kopior av betaglobinogenen till cellerna. När dessa modifierade celler återförs till patienten transporteras de via blodomloppet till benmärgen där de börjar tillverka friska röda blodkroppar som producerar betaglobin. Effekterna av Zynteglo förväntas kvarstå under patientens livstid.

## Vilka fördelar med Zynteglo har visats i studierna?

Zynteglo har visat sig vara effektivt när det gäller att minska behovet av blodtransfusion i två huvudstudier på patienter med beta-thalassemi som krävde regelbundna blodtransfusioner. I dessa studier hade 11 av de 14 patienter som inte helt saknade betaglobin och fick Zynteglo tillräckligt många röda blodkroppar för att inte behöva blodtransfusioner under minst 1 år efter behandlingen.

## Vilka är riskerna med Zynteglo?

Ett fåtal patienter har hittills behandlats med Zynteglo, och den allvarligaste biverkningen som observerats är trombocytopeni (lågt antal blodplättar, komponenter som hjälper blodet att koagulera).

Zynteglo får inte ges till gravida eller ammande kvinnor eller till patienter som tidigare har fått genterapibehandling (läkemedel som tillför gener). Läkare ska överväga om patienterna kan ges de nödvändiga förbehandlingar som behövs innan Zynteglo ges.

En fullständig förteckning över restriktioner finns i bipacksedeln.

## Varför är Zynteglo godkänt i EU?

Transfusionsberoende beta-thalassemi är en allvarlig sjukdom som har få behandlingsalternativ. Studier visar att efter en engångsbehandling med Zynteglo behöver de flesta patienter inte längre blodtransfusioner för att öka sina nivåer av röda blodkroppar. Detta innebär att patienterna kan undvika en stor ansamling av järn som uppträder vid regelbundna transfusioner och som i sig kräver behandling.

När det gäller säkerheten kan det, eftersom Zynteglo framställs med hjälp av ett virus, finnas en teoretisk risk för cancer till följd av oavsiktliga förändringar i det genetiska materialet, även om inga sådana fall hittills har observerats. Det finns också en eventuell risk för blödning eftersom läkemedlet kan orsaka att antalet blodplättar minskar. Det finns dock åtgärder för att övervaka sådana händelser genom ett patientregister och en långtidsstudie för att bedöma de långsiktiga resultaten för patienterna.

Även om informationen om läkemedlets säkerhet är begränsad på grund av det begränsade antalet patienter som hittills behandlats och bristen på långsiktiga uppgifter, beslutade Europeiska läkemedelsmyndigheten att Zynteglos fördelar är större än riskerna och att det kan godkännas för användning i EU.

Zynteglo har godkänts enligt reglerna om "villkorat godkännande". Detta innebär att det ska komma in ytterligare evidens för detta läkemedel och att företaget är skyldigt att lämna dessa uppgifter. Europeiska läkemedelsmyndigheten kommer att granska ny information om produkten varje år och uppdatera denna sammanfattning när det behövs.

## **Vilken information om Zynteglo saknas för närvarande?**

Eftersom Zynteglo har godkänts enligt reglerna om villkorat godkännande ska företaget som marknadsför Zynteglo lämna resultaten från pågående studier för att ytterligare bedöma effekten och säkerheten av Zynteglo.

## **Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Zynteglo?**

Företaget som marknadsför Zynteglo kommer att tillhandahålla utbildningsmaterial för hälso- och sjukvårdspersonal som förväntas använda läkemedlet med information om dess säkerhet, inklusive eventuella risker för cancer och blödning, och hur det ska ges. Patienterna kommer också att få en vägledning och ett kort som de ska bära på sig. Företaget kommer dessutom att se till att läkemedlet endast tillhandahålls från godkända centrum.

Företaget kommer också att tillhandahålla uppgifter från ett register över patienter som behandlats med Zynteglo för att studera dess långsiktiga säkerhet och effekt samt ytterligare uppgifter om de test som används vid tillverkningen av läkemedlet för att säkerställa dess kvalitet.

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Zynteglo har också tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Zynteglo kontinuerligt. Biverkningar som har rapporterats för Zynteglo utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienterna.

## **Mer information om Zynteglo**

Mer information om Zynteglo finns på EMA:s webbplats [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zynteglo](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zynteglo).