



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/577381/2023
EMA/H/C/005763

Casgevy (exagamglogén autotemcel)

Información general sobre Casgevy y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

¿Qué es Casgevy y para qué se utiliza?

Casgevy es un medicamento que se utiliza para tratar los trastornos de la sangre conocidos como β -talasemia y la anemia de células falciformes en pacientes de 12 años o más.

Para la β -talasemia, Casgevy se utiliza en pacientes que necesitan transfusiones sanguíneas regulares. Los pacientes con esta enfermedad no producen suficiente hemoglobina, la proteína de los glóbulos rojos que transporta el oxígeno por todo el organismo. Por consiguiente, estos pacientes presentan niveles bajos de glóbulos rojos y necesitan frecuentes transfusiones de sangre.

Para la anemia de células falciformes, Casgevy se utiliza en pacientes con enfermedad grave y crisis dolorosas recurrentes. Los pacientes con esta enfermedad presentan una forma anómala de hemoglobina que hace que los glóbulos rojos se vuelvan rígidos y pegajosos y cambien de forma de disco a forma de media luna (como una hoz). Estas células pueden bloquear los vasos sanguíneos, provocando crisis dolorosas que afectan al pecho, al abdomen (tripa) y a otras partes del cuerpo.

La β -talasemia y la anemia de células falciformes son raras y Casgevy fue designado «medicamento huérfano» (un medicamento utilizado para tratar enfermedades raras). Puede encontrar más información sobre la designación de medicamento huérfano en la página web de la Agencia Europea de Medicamentos ([\$\beta\$ -talasemia](#)): 17 de octubre de 2019; [anemia de células falciformes](#): 9 de enero de 2020)

Casgevy contiene como principio activo células madre modificadas genéticamente (células que pueden transformarse en células sanguíneas) tomadas de la propia sangre del paciente. Se utiliza cuando los tratamientos con células madre son adecuados y no se dispone de donantes adecuados de células madre.

¿Cómo se usa Casgevy?

Casgevy solo se podrá dispensar con receta médica y debe ser administrado en un centro autorizado por un médico con experiencia en la administración de este medicamento y con experiencia en el trasplante de células madre y en el tratamiento de los trastornos de la sangre que afectan a la hemoglobina.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Casgevy se elabora de forma individual para cada paciente a partir de células madre extraídas de su sangre, y solo se debe administrar al paciente para quien se haya elaborado. Se administra mediante perfusión intravenosa de una sola dosis (goteo) y la dosis depende del peso corporal del paciente.

Antes de administrar Casgevy, el paciente recibirá un tratamiento de quimioterapia de acondicionamiento para eliminar las células de la médula ósea.

Si desea más información sobre el uso de Casgevy, lea el prospecto o consulte a su médico o farmacéutico.

¿Cómo actúa Casgevy?

Para producir Casgevy, las células madre se editan (mediante la tecnología CRISPR/Cas9) para que produzcan más hemoglobina fetal, un tipo de hemoglobina que se encuentra principalmente en los fetos en el útero pero que también está presente en pequeñas cantidades en los adultos. Dado que la hemoglobina fetal puede compensar la falta de hemoglobina normal en adultos, las células madre modificadas, cuando se inyectan a los pacientes, pueden aumentar los niveles de glóbulos rojos en los pacientes con β -talasemia y prevenir crisis dolorosas en pacientes con anemia de células falciformes.

¿Qué beneficios ha demostrado tener Casgevy en los estudios realizados?

Los efectos de Casgevy se basan en los resultados provisionales de dos estudios que todavía están en curso. Los estudios no compararon Casgevy con otro medicamento o placebo.

En un estudio realizado en pacientes con talasemia de edades comprendidas entre los 12 y los 35 años en el que el medicamento se administró después del tratamiento de quimioterapia de acondicionamiento, 39 de los 42 pacientes mantuvieron los niveles de hemoglobina por encima de 9 g/dl sin necesidad de transfusiones sanguíneas durante al menos 12 meses consecutivos.

Casgevy también demostró ser eficaz para prevenir las crisis dolorosas de la anemia de células falciformes. En un estudio realizado en pacientes con anemia de células falciformes grave con edades comprendidas entre los 12 y los 35 años, 28 de los 29 pacientes no experimentaron ninguna crisis dolorosa durante al menos 12 meses consecutivos cuando fueron tratados con Casgevy después de la quimioterapia de acondicionamiento. Ninguno de los pacientes (29 de 29) necesitó hospitalización por crisis dolorosas durante al menos 12 meses consecutivos.

¿Cuáles son los riesgos asociados a Casgevy?

La lista completa de efectos adversos y restricciones de Casgevy se puede consultar en el prospecto.

Los efectos adversos más frecuentes de Casgevy (pueden afectar a más de 1 de cada 10 pacientes) son dolor de cabeza, náuseas y dolor de músculos y huesos.

Los médicos deben considerar si es posible administrar a los pacientes los tratamientos previos necesarios antes de Casgevy.

¿Por qué se ha autorizado Casgevy en la UE?

La β -talasemia que requiere transfusiones y anemia de células falciformes son enfermedades graves para las que las opciones de tratamiento son limitadas. Aunque los estudios con Casgevy fueron limitados y hubo incertidumbres asociadas a su diseño, demostraron que el tratamiento de una sola

vez puede reducir la necesidad de transfusiones de glóbulos rojos en pacientes con β -talasemia y reducir el número de crisis dolorosas en pacientes con anemia de células falciformes.

En términos de seguridad, el tratamiento fue generalmente bien tolerado y los efectos adversos se debieron principalmente a la quimioterapia de acondicionamiento. Podría existir un riesgo teórico de cáncer causado por cambios no deseados en el material genético, aunque hasta la fecha no se han observado casos de este tipo. También existe un riesgo potencial de hemorragia, ya que el medicamento puede provocar una disminución del número de plaquetas (componentes que ayudan a que la sangre se coagule). Se han establecido medidas para supervisar estos acontecimientos a través de un estudio basado en el estudio de 15 años basado en registros.

La Agencia Europea de Medicamentos decidió que los beneficios de Casgevy eran mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su uso en la UE. A Casgevy se le concedió una «autorización condicional». Esto significa que la compañía tendrá que aportar más pruebas tras la autorización.

La autorización condicional se concede sobre la base de datos menos exhaustivos de lo que se requiere normalmente. Se concede para los medicamentos que satisfacen una necesidad médica no cubierta de tratar enfermedades graves, y cuando los beneficios de disponer antes de esos medicamentos superan los riesgos asociados al uso de los medicamentos mientras se esperan más pruebas. La Agencia revisará anualmente la información más reciente de que se disponga hasta que los datos sean completos, y actualizará esta información general cuando sea necesario.

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Casgevy?

La compañía que comercializa Casgevy proporcionará los resultados de los estudios en curso para seguir evaluando la eficacia y la seguridad del medicamento. La compañía también facilitará material divulgativo a los profesionales sanitarios que vayan a utilizar el medicamento, con información sobre su seguridad, incluido el posible riesgo de cáncer y la necesidad de vigilar los niveles de plaquetas del paciente, y sobre cómo debe administrarse el medicamento. Los pacientes también recibirán una guía y una tarjeta que deben llevar consigo.

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Casgevy se han incluido también en la ficha técnica o resumen de las características del producto y en el prospecto.

Como para todos los medicamentos, los datos sobre el uso de Casgevy se controlan de forma continua. Los supuestos efectos adversos notificados de Casgevy se evalúan cuidadosamente, y se adoptan las medidas que pudieran resultar necesarias para proteger a los pacientes.

Otra información sobre Casgevy

Puede encontrar más información sobre Casgevy en la página web de la Agencia:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/casgevy