



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/227007/2025
EMA/H/C/005772

Zemcelpro (*dorocubicel/células CD34 no expandidas*)

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

¿Qué es Zemcelpro y para qué se utiliza?

Zemcelpro es un medicamento con células madre indicado para el tratamiento de adultos con neoplasias hematológicas malignas (cánceres de células sanguíneas) que requieren un trasplante alogénico de células madre hematopoyéticas (TCMH alogénico) y para los que no se dispone de otro tipo de células de donante adecuadas.

El TCMH alogénico es un procedimiento en el que se eliminan las células de la médula ósea del paciente (tejido esponjoso dentro de los huesos grandes en los que se producen las células sanguíneas) y, a continuación, se sustituyen por células de un donante compatible; las células trasplantadas se multiplican y se convierten en células sanas especializadas de la sangre y del sistema inmunitario. Zemcelpro se administra después de que los pacientes hayan recibido un tratamiento de acondicionamiento (preparatorio) con medicamentos contra el cáncer para eliminar las células de la médula ósea.

El TCMH es un procedimiento raro, y el 22 de abril de 2020 Zemcelpro fue designado «medicamento huérfano» (un medicamento utilizado para tratar enfermedades raras) indicado para pacientes que necesitaban un TCMH. Puede encontrar más información sobre la designación de medicamento huérfano en la [página web](#) de la EMA.

Zemcelpro se elabora específicamente para cada paciente. Contiene dos tipos de células madre de sangre de cordón umbilical donada: dorocubicel (células CD34+ expandidas; expandidas significa que las células se han cultivado y multiplicado en laboratorio) y células CD34- no expandidas.

¿Cómo se usa Zemcelpro?

Zemcelpro solo se podrá dispensar con receta médica. Debe ser administrado en un centro de trasplante cualificado con experiencia en TCMH por un médico con experiencia en el tratamiento de cánceres de células sanguíneas.

Zemcelpro se administra una sola vez mediante perfusión intravenosa (goteo en vena). Una dosis única de Zemcelpro consiste en entre 1 y 4 bolsas de perfusión que contienen dorocubicel y 4 bolsas que contienen células CD34- no expandidas.

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



Antes y después del tratamiento con Zemcelpro, se administran a los pacientes otros medicamentos para reducir el riesgo de reacciones relacionadas con la perfusión y prevenir las complicaciones del trasplante.

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

Cómo actúa Zemcelpro

Zemcelpro se utiliza para el tratamiento de pacientes con cánceres de la sangre que precisan un TCMH alogénico y para los que no se dispone de otro tipo de células de donante adecuadas.

En estos pacientes pueden utilizarse células sanguíneas de cordón umbilical; sin embargo, en algunos pacientes no se dispone de sangre adecuada de cordón umbilical debido al número bajo de células madre que tiene la sangre de cordón umbilical donada. Un número bajo de células madre en la sangre del cordón umbilical puede retrasar el prendimiento (cuando las células trasplantadas comienzan a crecer y a producir células sanguíneas sanas).

En Zemcelpro, algunas de las células madre del cordón umbilical se cultivan y multiplican en laboratorio y luego se administran junto con células no expandidas de la misma sangre del cordón umbilical. Las células CD34+ expandidas favorecen principalmente el crecimiento de células sanguíneas sanas, mientras que las células CD34- no expandidas favorecen el crecimiento y ayudan al mismo tiempo a eliminar las células cancerosas que puedan quedar. Después de la perfusión, las células madre de Zemcelpro migran a la médula ósea, donde se multiplican, maduran y se desarrollan para convertirse en células sanas especializadas de la sangre y del sistema inmunitario.

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

Los beneficios de Zemcelpro se demostraron en dos estudios principales en los que participaron 25 pacientes con leucemia de alto riesgo o mielodisplasia (tipos de cáncer de la sangre) que necesitaban un TCMH alogénico y para los que no se disponía de otro tipo de células de donante adecuadas. En los estudios en curso, Zemcelpro no se comparó con ningún otro tratamiento.

Los estudios demostraron que el tiempo medio que tardaron los pacientes en lograr el prendimiento de neutrófilos (cuando las células trasplantadas comienzan a crecer y producir neutrófilos, un tipo de glóbulo blanco) después de recibir Zemcelpro fue de 20 días. En el día 42, 21 de 25 pacientes (84 %) habían alcanzado el prendimiento de neutrófilos.

Además, los pacientes alcanzaron el prendimiento de plaquetas (cuando las células trasplantadas comienzan a crecer y producir plaquetas, componentes que ayudan a que la sangre se coagule) después de un promedio de 40 días después de recibir Zemcelpro; el día 100, 17 de los 25 pacientes (68 %) habían alcanzado el prendimiento de plaquetas.

Los resultados anteriores indican que el trasplante tuvo éxito y que empezaron a producirse nuevas células sanguíneas en la médula ósea.

¿Cuáles son los riesgos asociados a Zemcelpro?

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

Los efectos adversos más frecuentes de Zemcelpro (pueden afectar a más de 1 de cada 10 pacientes) son linfopenia (niveles bajos de linfocitos, un tipo de glóbulos blancos), infecciones, anemia (niveles bajos de glóbulos rojos), neutropenia (niveles bajos de neutrófilos), trombocitopenia (niveles bajos de plaquetas sanguíneas), leucopenia (niveles bajos de glóbulos blancos). hipogammaglobulinemia (reducción de los niveles sanguíneos de anticuerpos), neutropenia febril (niveles bajos de neutrófilos

con fiebre), hipertensión (presión arterial alta), síndrome de prendimiento (una complicación del TCMH con síntomas como fiebre, erupción cutánea y otras respuestas inflamatorias) y neumonía (infección pulmonar). La enfermedad de injerto contra huésped aguda (EICH, cuando las células del donante atacan al organismo poco después de un trasplante) se notificó en el 60 % de los pacientes, y la EICH crónica (que suele desarrollarse más tarde que la EICH aguda, en las semanas o meses siguientes a un trasplante) se notificó en el 16 % de los pacientes.

Los efectos adversos que causaron la muerte se produjeron en alrededor del 8 % de los pacientes tratados con Zemcelpro, e incluyeron infecciones, EICH aguda, hemorragia alveolar pulmonar (una enfermedad en la que se produce sangrado en los alvéolos pulmonares), neumonitis (inflamación en los pulmones, como síndrome de neumonía idiopática y neumonía organizadora criptogénica) e hipertensión pulmonar (tensión arterial alta en los vasos sanguíneos que irrigan los pulmones).

¿Por qué se ha autorizado Zemcelpro en la UE?

En el momento de la autorización, el tratamiento de pacientes con cánceres de las células sanguíneas que necesitaban un trasplante de hemocitoblastos (TCMH) y para los que no se disponía de ningún otro tipo de células de donante adecuadas representaba un reto clínico. Estos pacientes no disponían de otras opciones de tratamiento ni de una probabilidad mínima de recuperación.

Sobre la base de los resultados de un pequeño número de pacientes en los estudios en curso, la recuperación de neutrófilos y plaquetas tras el tratamiento con Zemcelpro fue rápida, robusta y sostenida, lo que indica que Zemcelpro puede ser beneficioso para estos pacientes. La seguridad de Zemcelpro se consideró aceptable en estos pacientes sin otras opciones de tratamiento en el momento de la autorización.

A Zemcelpro se le concedió una autorización condicional para su uso en la UE. Esto significa que ha sido autorizado sobre la base de datos menos exhaustivos que lo que se requiere normalmente porque satisface una necesidad médica no cubierta. La Agencia Europea de Medicamentos considera que el beneficio de comercializar antes el medicamento es mayor que cualquier riesgo asociado a su uso, a la espera de más datos.

La compañía debe proporcionar más datos sobre Zemcelpro. Debe presentar los resultados finales de los dos estudios principales en curso y de dos estudios adicionales con Zemcelpro y proporcionar datos de otro estudio basado en un registro de pacientes tratados con Zemcelpro. La Agencia revisará anualmente la información más reciente de que se disponga.

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

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Zemcelpro se han incluido 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 Zemcelpro se controlan de forma continua. Los supuestos efectos adversos notificados de Zemcelpro se evalúan cuidadosamente, y se adoptan las medidas que pudieran resultar necesarias para proteger a los pacientes.

Otra información sobre Zemcelpro

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

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