



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

16 de septiembre de 2021
EMA/546292/2021

El CHMP respalda la revisión que no concluye ninguna relación entre el vector viral de Zynteglo y el cáncer de las células sanguíneas

El 22 de julio de 2021, el Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) de la EMA respaldó las conclusiones de una revisión que concluyó que no existen pruebas de que Zynteglo cause un cáncer de las células sanguíneas conocido como leucemia mieloide aguda (LMA).

Zynteglo, una terapia génica para el trastorno sanguíneo betatalasemia, utiliza un vector vírico (o virus modificado) para liberar un gen funcional en las células sanguíneas del paciente.

En la revisión se consideraron dos casos de LMA en pacientes tratados con un medicamento en fase de investigación, bb1111, en un ensayo clínico sobre la anemia falciforme. Aunque no se han notificado casos de LMA con Zynteglo, ambos medicamentos utilizan el mismo vector vírico y existe la preocupación de que el vector pueda estar implicado en el desarrollo del cáncer (oncogénesis insercional).

En la revisión realizada por el comité de seguridad de la EMA (PRAC), con apoyo de expertos del Comité de Terapias Avanzadas (CAT), se observó que era improbable que el vector vírico fuera la causa. En uno de los pacientes, el vector viral no estaba presente en las células cancerosas, y en el otro paciente estaba presente en un lugar (VAMP4) que no parece estar implicado en el desarrollo de cáncer.

Tras examinar todas las pruebas, quedó claro que las explicaciones más plausibles para los casos de LMA incluían el tratamiento de acondicionamiento que los pacientes recibieron para eliminar las células de la médula ósea y el mayor riesgo de cáncer de la sangre en las personas con anemia falciforme.

Los pacientes que reciben tratamiento con Zynteglo para la betatalasemia también necesitan tratamiento de acondicionamiento para eliminar sus células de la médula ósea antes de recibir Zynteglo. Por tanto, los profesionales sanitarios deben informar explícitamente a los pacientes que reciben Zynteglo del mayor riesgo de sufrir cánceres de la sangre derivado de los medicamentos utilizados en los tratamientos de acondicionamiento.

El CHMP aprobó una actualización de las recomendaciones para el seguimiento de los pacientes. En la actualidad, los profesionales sanitarios deben comprobar en sus pacientes la presencia de signos de cáncer de la sangre **al menos** una vez al año durante 15 años.¹

¹ La recomendación anterior era que los profesionales sanitarios comprobasen una vez al año la presencia de síntomas de cáncer.



El CHMP concluyó que los beneficios de Zynteglo siguen siendo mayores que sus riesgos. Como para todos los medicamentos, la EMA supervisará cualquier dato nuevo sobre su seguridad y actualizará las recomendaciones para los pacientes y los profesionales sanitarios cuando sea necesario.

Información destinada a los pacientes

- En una revisión realizada por la EMA no se han encontrado pruebas de que el vector viral de Zynteglo cause un cáncer de la sangre conocido como leucemia mieloide aguda (LMA).
- Zynteglo se seguirá utilizando como hasta ahora. No obstante, es posible que el profesional sanitario que le atiende le invite a someterse a un cribado del cáncer con una frecuencia superior a una vez al año.
- Si tiene cualquier duda sobre su tratamiento, consulte al profesional sanitario que le atiende.

Información destinada a los profesionales sanitarios

- La revisión de la EMA ha llegado a la conclusión de que no hay pruebas de que el vector vírico de Zynteglo cause LMA.
- Aunque dos pacientes que recibieron el mismo vector viral en otro medicamento presentaron LMA, existen explicaciones más plausibles que la oncogénesis insercional, en particular el tratamiento de acondicionamiento que recibieron los pacientes y el mayor riesgo de cáncer hematológico en las personas con anemia falciforme.
- Los profesionales sanitarios deben informar explícitamente a los pacientes que reciban Zynteglo del mayor riesgo de sufrir cánceres de la sangre derivados de los medicamentos utilizados en los tratamientos de acondicionamiento.
- Los profesionales sanitarios deben seguir vigilando a los pacientes para detectar un posible cáncer. La EMA ha actualizado su recomendación para el cribado del cáncer, cambiando el requisito de una vez al año a **al menos** una vez al año.

Información adicional sobre el medicamento

Zynteglo es un tratamiento que se administra en una sola dosis para el tratamiento de un trastorno de la sangre conocido como betatalasemia en pacientes a partir de 12 años de edad que necesitan transfusiones de sangre con regularidad.

Para fabricar Zynteglo, las células madre extraídas de la sangre del paciente se modifican con un virus que transporta copias funcionales del gen de betaglobina a las células. Cuando se reintroducen estas células modificadas en el paciente, el torrente sanguíneo las transporta a la médula ósea, donde empiezan a crear glóbulos rojos sanos que producen betaglobina. Se prevé que los efectos de Zynteglo duren toda la vida del paciente.

A Zynteglo se le concedió una autorización condicional de comercialización en mayo de 2019. La autorización condicional significa que queda pendiente la presentación por parte de la empresa de datos complementarios sobre el medicamento. La EMA revisa periódicamente la nueva información disponible.

Más información sobre el procedimiento

La revisión de Zynteglo se inició el 18 de febrero de 2021 a petición de la Comisión Europea, de conformidad con el [artículo 20 del Reglamento \(CE\) n.º 726/2004](#).

La revisión fue realizada en primer lugar por el Comité para la Evaluación de Riesgos en Farmacovigilancia (PRAC), el comité responsable de evaluar los problemas de seguridad en los medicamentos de uso humano, que trabajó en estrecha colaboración con expertos del [Comité de Terapias Avanzadas \(CAT\)](#).

Las recomendaciones del PRAC se enviaron al CAT, que adoptó un proyecto de dictamen el 16 de julio de 2021 en consonancia con las recomendaciones del PRAC, y posteriormente al Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP), responsable de todas las cuestiones relativas a los medicamentos de uso humano. El 22 de julio de 2021 el CHMP adoptó el dictamen definitivo de la Agencia teniendo en cuenta el proyecto de dictamen del CAT. El dictamen del CHMP se remitió a la Comisión Europea, que adoptó una decisión legalmente vinculante para todos los Estados miembros de la UE el 16 de septiembre de 2021.

Medicamento con autorización anulada