



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Casgevy (eksagamglogeenautotemtseel)

Ülevaade ravimist Casgevy ja ELis müügiloa väljastamise põhjendus

### Mis on Casgevy ja milleks seda kasutatakse?

Casgevy on ravim, mida kasutatakse verehäirete beetatalasseemia ja sirprakkehaiguse raviks vähemalt 12-aastastel patsientidel.

Beetatalasseemia korral kasutatakse Casgevyt patsientidel, kes vajavad korrapäraseid vereülekandeid. Selle haigusega patsientidel ei teki piisavalt hemoglobiini (vere punaliblede valk, mis kannab hapnikku organismis laiali). Tulemusena on neil patsientidel erütrotsüütide vähesus ja nad vajavad sageli vereülekandeid.

Sirprakkehaiguse korral kasutatakse Casgevyt raske haiguse ja korduvate valulike kriisidega patsientidel. Selle seisundiga patsientidel on hemoglobiini ebanormaalne vorm, mis muudab vere punalibled jäigaks ja kleepuvaks ning kettakujulisest poolkuukujuliseks (sirbikujuliseks). Need rakud võivad ummistada veresooni, põhjustades valulikke kriise rindkeres, alakõhus ja muudes kehapiirkondades.

Beetatalasseemia ja sirprakkehaigus esinevad harva ja Casgevy nimetati harvikravimiks. Lisateave harvikravimiks nimetamise kohta on Euroopa Raviameti veebilehel ([beetatalasseemia](#) 17. oktoober 2019; [sirprakkehaigus](#): 9. jaanuar 2020)

Casgevy sisaldab toimeainena geneetiliselt muundatud tüvirakke (rakud, mis võivad areneda vererakkudeks), mis võetakse patsiendi enda verest. Casgevyt kasutatakse, kui ravi tüvirakkudega on asjakohane ja puuduvad sobivad tüvirakudoonorid.

### Kuidas Casgevyt kasutatakse?

Casgevy on retseptiravim ja seda peab manustama heakskiidetud keskuses arst, kes on saanud selle ravimi manustamise koolituse ning kellel on kogemusi tüvirakkude siirdamisel ja hemoglobiini mõjutavate verehäirete ravis.

Casgevy valmistatakse igale patsiendile eraldi temalt kogutud tüvirakkudest ning seda tohib manustada üksnes patsiendile, kelle jaoks see on tehtud. Casgevyt manustatakse ühekordse veeniinfusioonina ja annus sõltub patsiendi kehamassist.

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

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

An agency of the European Union



Enne Casgevy manustamist saab patsient ettevalmistavat keemiaravi, mis hävitab tema lüüdirakud.

Lisateavet Casgevy kasutamise kohta saate pakendi infolehel või küsige tervishoiutöötajalt.

## **Kuidas Casgevy toimib?**

Casgevy valmistamiseks muudetakse tüvirakke (CRISPR/Cas9-tehnoloogia abil) nii, et need toodavad rohkem lootehemoglobiini. Seda liiki hemoglobiini esineb peamiselt loodetel, kuid ka täiskasvanutel väikeses koguses. Et lootehemoglobiin võib kompenseerida normaalse täiskasvanuhemoglobiini puudumist, võivad patsiendile süstitavad modifitseeritud tüvirakud beetatalasseemiaga patsientidel suurendada erütrotsüütide sisaldust veres ja ennetada sirprakhaigusega patsientidel valulikke kriise.

## **Mis on uuringute põhjal Casgevy kasulikkus?**

Casgevy toime põhineb kahe veel toimuva uuringu esialgsetel tulemustel. Uuringutes ei võrreldud Casgevyt ühegi muu ravimi ega platseeboga.

Ühes 12–35-aastaste talasseemiaga patsientide uuringus, kus ravimit manustati pärast ettevalmistavat keemiaravi, püsis 39 patsiendil 42st hemoglobiinisaldus üle 9 g/dl ilma vereülekanneteta vähemalt 12 kuud järjest.

Samuti tõendati, et Casgevy on efektiivne valulike sirprakkkriiside ennetamisel. Raske sirprakhaigusega 12–35-aastaste patsientide uuringus ei esinenud 28 patsiendil 29st vähemalt 12 kuud järjest valulikke kriise, kui neid raviti ettevalmistava keemiaravi järel Casgevyga. Ükski patsient 29st ei vajanud vähemalt 12 kuud järjest haiglaravi valukriiside tõttu.

## **Mis on Casgevy riskid?**

Casgevy kõrvalnähtude ja piirangute täielik loetelu on pakendi infolehel.

Casgevy kõige sagedamad kõrvalnähud (võivad esineda enam kui 1 patsiendil 10st) on näiteks peavalu, iiveldus ning lihase- ja luuvalu.

Arst peab otsustama, kas patsiendile tohib teha enne Casgevy manustamist vajalikku eelravi.

## **Miks Casgevy ELis heaks kiideti?**

Vereülekandeid vajav beetatalasseemia ja sirprakuline aneemia on rasked haigusseisundid, mille ravivõimalused on piiratud. Kuigi Casgevy uuringud olid väikesed ja nende ülesehituses oli määramatusi, tõendasid uuringud, et ühekordne ravi võib vähendada erütrotsüütide ülekannete vajadust beetatalasseemiaga patsientidel ja valulike kriiside arvu sirprakhaigusega patsientidel.

Ohutuse seisukohast taluti ravi üldiselt hästi ja kõrvalnähud olid tingitud peamiselt ettevalmistavast keemiaravist. Geneetilises materjalis toimunud tahtmatud muutused võivad teoreetiliselt põhjustada vähiriski, kuigi seni ei ole selliseid juhtumeid täheldatud. Samuti on olemas potentsiaalne verejooksurisk, sest ravim võib põhjustada trombotsüütide (vere hüübimist soodustavate vererakkude) arvu vähenemist. Kehtestatud on selliste sündmuste seire meetmed 15-aastase registripõhise uuringu kaudu.

Euroopa Raviamet otsustas, et Casgevy kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid ja ravimi kasutamise võib ELis heaks kiita. Casgevy on saanud müügiloo tingimusliku heakskiidu alusel. See tähendab, et ettevõtte peab pärast müügiloo andmist esitama täiendavad tõendid.

Tingimuslik müügiluba antakse vähem põhjalike andmete alusel, kui nõutakse tavapäraselt. See antakse ravimitele, millega ravitakse täitmata ravivajadusega raskeid haigusi, ja kui täiendavaid

tõendeid oodates on ravimite varasema kättesaadavuse kasulikkus suurem kui kasutamisega seotud riskid. Amet vaatab igal aastal läbi kogu uue teabe, kuni andmed on terviklikud, ning vajaduse korral uuendab käesolevat ülevaadet.

## **Mis meetmed võetakse, et tagada Casgevy ohutu ja efektiivne kasutamine?**

Casgevy turustaja esitab toimuvate uuringute tulemused, et hinnata täiendavalt ravimi efektiivsust ja ohutust. Samuti annab ettevõtte ravimit eeldatavalt kasutavatele tervishoiutöötajatele teabematerjali, milles on ravimi ohutusteave, sealhulgas teave võimaliku vähiriski ja vajaduse kohta jälgida patsiendi trombotsüütide sisaldust, samuti ravimi manustamise teave. Patsiendid saavad ka juhendi ja kaardi, mida nad peavad kaasas kandma.

Casgevy ohutu ja efektiivse kasutamise soovitusel ja ettevaatusmeetmed tervishoiutöötajatele ja patsientidele on samuti lisatud ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

Nagu kõigi ravimite korral, tehakse Casgevy kasutamise kohta pidevat järelvalvet. Casgevy oletatavaid teatatud kõrvalnähte hinnatakse hoolikalt ja patsientide kaitseks võetakse vajalikke meetmeid.

## **Muu teave Casgevy kohta**

Lisateave Casgevy kohta on ameti veebilehel: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/casgevy](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/casgevy)