



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

16. september 2021  
EMA/546292/2021

## Inimravimite komitee kiitis heaks läbivaatamise tulemuse, et Zynteglo viirusvektori ja verevähi seos puudub

22. juulil 2021 kiitis EMA inimravimite komitee heaks läbivaatamise tulemused, milles järeldati, et puuduvad tõendid, et Zynteglo põhjustab verevähki ägedat müeloidleukeemiat (AML).

Verehaiguse beetatalasseemia geeniteraapiaravimis Zynteglo kasutatakse viirusvektorit (modifitseeritud viirust), mis sisestab toimiva geeni patsiendi vererakkudesse.

Läbivaatamine käsitles kaht ägeda müeloidleukeemia juhtu sirprakshaiguse kliinilises uuringus patsientidel, keda raviti uuritava ravimiga bb1111. Kuigi ei ole teatatud Zyntegloga seotud ägeda müeloidleukeemia juhtudest, kasutavad mõlemad ravimid sama viirusvektorit ja arvati, et vektor võib olla seotud vähi tekkega (insertsiooniline onkogenees).

Läbivaatamise korraldas EMA ravimiohutuse riskihindamise komitee uudsete ravimite komitee ekspertide toetusel ja selles leiti, et viirusvektor ei ole tõenäoliselt põhjus. Ühel patsiendil puudus viirusvektor vähirakkudes ja teisel oli see kohas (VAMP4), mis ei näi osalevat vähi tekkes.

Pärast kõigi tõendite uurimist oli selge, et ägeda müeloidleukeemia juhtude usutavamad selgitused olid muu hulgas ettevalmistav ravi, mida patsiendid said luuüdi rakkude eemaldamiseks, ning suurem verevähi risk sirprakshaigusega patsientidel.

Zyntegloga ravitavad beetatalasseemiaga patsiendid vajavad enne Zynteglo manustamist samuti ettevalmistavat ravi, et eemaldada luuüdirakud. Tervishoiutöötajad peavad seepärast selgelt teatama Zynteglot saavatele patsientidele, et neil on suurem verevähi risk ettevalmistavas ravis kasutatavate ravimite tõttu.

Inimravimite komitee nõustus patsientide jälgimise soovitude ajakohastamisega. Tervishoiutöötajad peavad nüüd kontrollima patsiente verevähi nähtude suhtes **vähemalt** üks kord aastas 15 aasta jooksul.<sup>1</sup>

Inimravimite komitee järeldas, et Zynteglo kasulikkus on endiselt suurem kui sellega kaasnevad riskid. Nagu kõigi ravimite puhul, jälgib EMA kõiki uusi andmeid ravimi ohutuse kohta ning ajakohastab vajaduse korral patsientide ja tervishoiutöötajate nõuandeid.

<sup>1</sup> Eelmine soovitus oli, et tervishoiutöötajad kontrolliksid vähisümptomeid üks kord aastas.



## Patsientide teave

- EMA läbivaatamisel ei leitud tõendeid, et Zynteglo viirusvektor põhjustaks verevähki ägedat müeloidleukeemiat (AML).
- Zyntelgo kasutamist jätkatakse nagu varem. Tervishoiutöötaja võib siiski kutsuda teid vähi sõeluuringutele sagedamini kui kord aastas.
- Kui teil on ravi kohta küsimusi, pidage nõu oma tervishoiutöötajaga.

## Tervishoiutöötajate teave

- EMA läbivaatamismenetluses järeldati, et puuduvad tõendid, et Zynteglo viirusvektor põhjustaks ägedat müeloidleukeemiat.
- Kuigi kahel patsiendil, kes said teises ravimis sama viirusvektorit, esines äge müeloidleukeemia, on sellele olemas usutavamad selgitused kui insertiooniline onkogenees, sealhulgas ettevalmistav ravi patsientidel ja hematoloogilise vähi suurem risk sirprakkaigusega patsientidel.
- Tervishoiutöötajad peavad Zynteglot kasutavatele patsientidele selgelt teatama suuremast verevähi riskist, mis tuleneb ettevalmistavas ravis kasutatavatest ravimitest.
- Tervishoiutöötajad peavad jätkama patsientide jälgimist vähi suhtes. EMA on uuendanud oma soovitusi vähi sõeluuringute kohta, muutes nõude „üks kord aastas“ nõudeks „**vähemalt** üks kord aastas“.

---

## Ravimi lisateave

Zynteglot kasutatakse verehäire beetatalasseemia ühekordseks raviks vähemalt 12-aastastel patsientidel, kes vajavad regulaarselt vereülekandeid.

Zynteglo valmistamisel eraldatakse patsiendi verest tüvirakud, mida modifitseeritakse viirusega, mis sisestab rakkudesse beetaglobiini geeni toimivaid koopiaid. Modifitseeritud rakud manustatakse samale patsiendile tagasi ja need liiguvad vereringega luuüdisse, mis hakkab moodustama beetaglobiini tootvaid normaalseid punaliblesid. Eeldatavasti püsib Zynteglo toime kogu patsiendi elu.

Zynteglo müügiluba anti tingimusliku heakskiidu alusel mais 2019. Tingimuslik müügiluba tähendab, et selle ravimi kohta peab ettevõtte esitama veel andmeid. EMA vaatab uue teabe korrapäraselt läbi.

## Menetluse lisateave

Zynteglo läbivaatamist alustati 18. veebruaril 2021 Euroopa Komisjoni nõudel [määruse \(EÜ\) nr 726/2004 artikli 20](#) alusel.

Ravimiteabe vaatas kõigepealt läbi inimravimite ohutusprobleemide hindamise eest vastutav ravimiohutuse riskihindamise komitee, kes tegi tihedat koostööd [uudsete ravimite komitee](#) ekspertidega.

Ravimiohutuse riskihindamise komitee soovitused saadeti uudsete ravimite komiteele, kes võttis kooskõlas ravimiohutuse riskihindamise komitee soovitustega 16. juulil 2021 vastu arvamuse kavandi, ning seejärel inimravimite komiteele, kes vastutab inimravimitega seotud küsimuste eest. 22. juulil

2021 võttis inimravimite komitee vastu ameti lõpliku arvamuse, võttes arvesse uudsete ravimite komitee arvamuse kavandit. Inimravimite komitee arvamus edastati Euroopa Komisjonile, kes tegi 16. septembril 2021 lõpliku õiguslikult siduva otsuse, mida kohaldatakse kõigis Euroopa Liidu liikmesriikides.

Ravimil on müügiluba lõppenud