



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Casgevy (eksagamglogeeniautotemseeli)

Yleistiedot Casgevy-valmisteesta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

### Mitä Casgevy on ja mihin sitä käytetään?

Casgevy on lääke beetatalassemiksi ja sirppisolutaudiksi kutsuttujen verisairauksien hoitoon vähintään 12-vuotiailla potilailla.

Beetatalassemian hoidossa Casgevyä annetaan potilaille, jotka tarvitsevat säännöllisiä verensiirtoja. Kyseistä sairautta sairastavien potilaiden elimistö ei tuota riittävästi hemoglobiinia, punaisissa verisoluissa olevaa proteiinia, joka kuljettaa happea kehon eri osiin. Siksi näillä potilailla veren punasolujen määrä on alhainen, ja he tarvitsevat usein tehtäviä verensiirtoja.

Sirppisolutaudin hoidossa Casgevyä käytetään potilailla, joiden sairaus on vaikea ja joilla esiintyy toistuvia kipukohtauksia. Kyseistä sairautta sairastavilla potilailla on poikkeava hemoglobiinimuoto, joka tekee punasoluista jäykkiä ja takertuvia, ja niiden muoto muuttuu kiekkomaisesta puolikuun muotoiseksi (sirppimäiseksi). Nämä solut voivat tukkia verisuonia ja aiheuttaa kipukohtauksia rinnassa, vatsassa ja muissa kehon osissa.

Beetatalasemia ja sirppisolutauti ovat harvinaisia sairauksia. Casgevy nimettiin ns. harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke). Lisätietoja harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on Euroopan lääkeviraston verkkosivustolla ([beetatalasemia](#): 17. lokakuuta 2019; [sirppisolutauti](#): 9. tammikuuta 2020)

Casgevyn vaikuttava aine on geneettisesti muunnetut kantasolut (soluja, jotka voivat kehittyä verisoluiksi), jotka on kerätty potilaan omasta verestä. Sitä käytetään silloin, kun kantasoluhoito soveltuu potilaalle eikä sopivaa kantasolujen luovuttajaa ole saatavilla.

### Miten Casgevyä käytetään?

Casgevyä saa ainoastaan lääkärin määräyksestä, ja sitä saa antaa hyväksytyssä hoitokeskuksessa lääkäri, joka on koulutettu antamaan kyseistä lääkevalmistetta ja joka on perehtynyt kantasolusiirtoihin ja hemoglobiiniin vaikuttavien verisairauksien hoitoon.

Casgevy valmistetaan kullekin potilaalle yksilöllisesti potilaan verestä kerätyistä kantasoluista, ja sitä saa antaa vain potilaalle, jota varten se on valmistettu. Se annetaan kertainfuusiona (tiputuksena) laskimoon, ja annos määräytyy potilaan painon mukaan.

---

**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



Ennen Casgevyn antamista potilas saa valmistavaa solunsalpaajahoitoa, jolla potilaan luuytimen solut tuhotaan.

Lisätietoa Casgevyn käytöstä saa pakkausselosteesta tai lääkäriltä.

## **Miten Casgevy vaikuttaa?**

Casgevyn valmistamiseksi kantasoluja muokataan (CRISPR/Cas9-tekniikalla) siten, että ne tuottavat enemmän fetaalihemoglobiinia. Fetaalihemoglobiini on hemoglobiinityppi, jota esiintyy pääasiassa sikiöillä, mutta jota on pieniä määriä myös aikuisilla. Fetaalihemoglobiinilla voidaan kompensoida aikuisten normaalin hemoglobiinin puuttumista. Näin ollen muokatut kantasolut voivat potilaaseen injektoida lisää veren punasolujen määrää beetatalassemiaa sairastavilla potilailla ja ehkäistä kipukohtauksia sirppisolutautia sairastavilla potilailla.

## **Mitä hyötyä Casgevystä on havaittu tutkimuksissa?**

Tiedot Casgevyn vaikutuksista ovat peräisin kahden yhä meneillään olevan tutkimuksen alustavista tuloksista. Casgevyä ei verrattu tutkimuksissa toiseen lääkkeeseen tai lumelääkkeeseen.

Iältään 12–35-vuotiailla beetatalassemiaa sairastavilla potilailla tehdyssä tutkimuksessa, jossa lääkettä annettiin valmistavan solunsalpaajahoidon jälkeen, 39 potilaalla 42:sta hemoglobiinipitoisuus pysyi tasolla yli 9 g/dl vähintään 12 peräkkäisen kuukauden ajan ilman, että verensiirtoja tarvittiin.

Casgevyn osoitettiin myös ehkäisevän tehokkaasti kivuliaita sirppisolukriisejä. Iältään 12–35-vuotiailla vaikeaa sirppisolutautia sairastavilla potilailla tehdyssä tutkimuksessa 28 potilaalla 29:stä ei ollut kivuliaita kriisejä vähintään 12 peräkkäisen kuukauden aikana, kun heitä hoidettiin Casgevyllä valmistavan solunsalpaajahoidon jälkeen. Yksikään potilaista (29 potilasta 29:stä) ei tarvinnut sairaalahoitoa kivuliaisiin kriiseihin vähintään 12 peräkkäisen kuukauden aikana.

## **Mitä riskejä Casgevyyn liittyy?**

Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Casgevyn ilmoitetuista haittavaikutuksista ja rajoituksista.

Casgevyn yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua useammalle kuin yhdelle potilaalle kymmenestä) ovat päänsärky, pahoinvointi sekä lihas- ja luukipu.

Lääkärin on harkittava, voiko potilaalle antaa ennen Casgevyn antamista tarvittavia esihoitoja.

## **Miksi Casgevy on hyväksytty EU:ssa?**

Verensiirtoja edellyttävä beetatalassemia ja sirppisolutauti ovat vakavia sairauksia, joiden hoitovaihtoehdot ovat rajalliset. Vaikka Casgevyä koskevat tutkimukset olivat mittakaavaltaan pieniä ja niiden suunnitteluun liittyi epävarmuustekijöitä, ne osoittivat, että kertahoito voi vähentää punasolusiirtojen tarvetta beetatalassemiaa sairastavilla potilailla ja vähentää kipukohtausten määrää sirppisolutautia sairastavilla potilailla.

Turvallisuuden osalta hoitoa siedettiin yleensä hyvin, ja haittavaikutukset johtuivat lähinnä valmistavasta solunsalpaajahoidosta. Geneettisen materiaalin tahattomien muutosten aiheuttama teoreettinen syöpäriski voi olla olemassa, vaikka tällaisia tapauksia ei ole toistaiseksi havaittu. Myös verenvuodon riski on mahdollinen, koska lääke saattaa aiheuttaa verihyytymistä edistäviä komponentteja määrän vähenemistä. Näiden tapahtumien seuraamiseksi on toteutettu toimenpiteitä 15 vuoden pituisen rekisteritutkimuksen avulla.

Euroopan lääkevirasto katsoi, että Casgevyn hyöty on sen riskejä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa. Casgevyllä annettiin ns. ehdollinen myyntilupa. Tämä tarkoittaa sitä, että yhtiön on toimitettava lisää näyttöä myyntiluvan myöntämisen jälkeen.

Ehdollinen myyntilupa myönnetään tavanomaista suppeampien tietojen perusteella. Se myönnetään sellaisia vakavien sairauksien hoitoon tarkoitettuja lääkkeitä varten, joihin on vain vähän hoitovaihtoehtoja, ja kun varhaisemman markkinoille saattamisen hyöty on suurempi kuin käyttöön liittyvät riskit sinä aikana, kun lääkkeitä odotetaan lisänäyttöä. Euroopan lääkevirasto arvioi mahdollisesti saatavat uudet tiedot vuosittain, kunnes tiedot ovat kattavat, ja tätä yhteenvetoa päivitetään tarvittaessa.

## **Miten voidaan varmistaa Casgevyn turvallinen ja tehokas käyttö?**

Casgevyä markkinoiva yhtiö toimittaa tulokset meneillään olevista tutkimuksista, joissa arvioidaan tarkemmin lääkkeen tehoa ja turvallisuutta. Lisäksi yhtiö toimittaa perehdytysmateriaalia terveydenhuollon ammattilaisille, joiden oletetaan antavan lääkettä potilaille. Aineistossa on tietoa lääkkeen turvallisuudesta, mahdollisesta syöpäriskistä, tarpeesta seurata potilaan verihutioiden määrää ja siitä, miten lääke tulee antaa. Potilaat saavat myös oppaan ja potilaskortin, jota heidän on pidettävä mukanaan.

Suosituksien ja varotoimien, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Casgevyn käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät myös valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Casgevyn käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Casgevy-valmisteesta ilmoitetut haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet suoritetaan potilaiden suojelemiseksi.

## **Muita tietoja Casgevystä**

Lisätietoja Casgevystä on viraston verkkosivustolla osoitteessa [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/casgevy](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/casgevy)