



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zemcelpro (*dorokubiseeli / laajentamattomat CD34-solut*)

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

Mitä Zemcelpro on ja mihin sitä käytetään?

Zemcelpro on kantasolulääke, jota käytetään sellaisten verisyöpä sairastavien aikuisten hoitoon, jotka tarvitsevat allogeenisen hematopoieettisen kantasolusiirron (allo-HSCT) ja joille ei ole saatavissa muuntotyypisiä sopivia luovutettuja soluja.

Allo-HSCT on menettely, jossa potilaan luuydin (suurten luiden sisällä oleva sienimäinen kudosa, jossa muodostuu verisoluja) puhdistetaan soluista, jotka korvataan sopivalta luovuttajalta saaduilla soluilla. Siirretyt solut monistuvat ja kehittyvät terveiksi erikoistuneiksi veri- ja immuunisoluiksi. Zemcelpro-valmistetta annetaan, kun potilaat ovat saaneet syöpälääkkeitä valmistelevana hoitona solujen puhdistamiseksi luuytimeä.

Hematopoieettinen kantasolusiirto on harvinainen toimenpide, ja Zemcelpro nimettiin 22. huhtikuuta 2020 harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) potilaille, jotka tarvitsevat hematopoieettisen kantasolusiirron. Lisätietoa harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on EMAn [verkkosivustolla](#).

Zemcelpro valmistetaan erikseen kullekin potilaalle. Siinä on kahdentyyppisiä kantasoluja luovutetusta napaverestä: dorokubiseeli (laajennetut CD34+-solut; laajennettu viittaa solujen kasvattamiseen ja monistamiseen laboratoriossa) ja laajentamattomat CD34-solut.

Miten Zemcelpro-valmistetta käytetään?

Zemcelpro-valmistetta saa ainoastaan lääkärin määräyksestä. Hoito on annettava erikoistuneessa elinsiirtokeskuksessa, jossa on asiantuntemusta hematopoieettisesta kantasolusiirrosta, ja hoidon saa antaa verisyöpien hoidosta kokemusta saanut lääkäri.

Zemcelpro-valmistetta annetaan yksi kerta-annos infuusiona (tiputuksena) laskimoon. Yksi Zemcelpro-annos koostuu 1–4 infuusiopussista, joissa on dorokubiseeliä, ja neljästä pussista, joissa on laajentamattomia CD34-soluja.

Ennen Zemcelpro-hoitoa ja sen jälkeen potilaille annetaan muita lääkkeitä, joilla pienennetään infuusion liittyvien reaktioiden riskiä ja ehkäistään siirtoon liittyviä komplikaatioita.

Lisätietoja Zemcelpron käytöstä saa pakkausselosteesta tai lääkäriltä.

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



Miten Zemcelpro vaikuttaa

Zemcelpro-valmistetta käytetään sellaisten verisyöpöpotilaiden hoitoon, jotka tarvitsevat allogeenisen hematopoieettisen kantasolusiirron ja joille ei ole saatavissa muuntotyypisiä sopivia luovutettuja soluja.

Näillä potilailla voidaan käyttää napaveren soluja. Joillekin potilaille ei kuitenkaan löydy sopivaa napaverta, mikä johtuu luovutetun napaveren vähäisestä kantasolujen määrästä. Napaveren kantasolujen vähäisyys voi viivästyttää siirron onnistumista (ennen kuin siirretyt solut alkavat kasvaa ja tuottaa terveitä verisoluja).

Zemcelprossa jotkin napanuoran kantasolut kasvatetaan ja monistetaan laboratoriossa, minkä jälkeen ne annetaan yhdessä samasta napaverestä peräisin olevien laajentamattomien solujen kanssa. Laajennetut CD34+-solut edistävät pääasiassa terveiden verisolujen kasvua. Laajentamattomat CD34-solut tukevat tätä ja auttavat myös poistamaan jäljellä olevia syöpäsoluja. Infuusion jälkeen Zemcelpron kantasolut siirtyvät luuytimeen, jossa ne monistuvat, kypsyvät ja kehittyvät terveiksi erikoistuneiksi veri- ja immuunisoluiksi.

Mitä hyötyä Zemcelprosta on havaittu tutkimuksissa?

Zemcelpron hyöty osoitettiin kahdessa päätutkimuksessa. Niihin osallistui 25 potilasta, joilla oli suuririskinen leukemia tai myelodysplasia (verisyövän tyyppiä) ja jotka tarvitsivat allogeenisen hematopoieettisen kantasolusiirron, eikä muuntotyypisiä sopivia luovuttajasoluja ollut saatavissa. Meneillään olevissa tutkimuksissa Zemcelpro-valmistetta ei verrattu mihinkään muuhun hoitoon.

Tutkimukset osoittivat, että Zemcelpro-hoidon jälkeen kului keskimäärin 20 päivää siihen, kun siirretyt solut alkoivat kasvaa ja tuottaa neutrofiilejä (valkoisten verisolujen tyyppi). Päivänä 42 21 potilaalla 25:stä (84 %) neutrofiilien siirto oli saatu onnistuneesti päätökseen.

Myös siirretyt verihitaleet aktivoituivat onnistuneesti (kun siirretyt solut alkavat kasvaa ja tuottaa verihitaleita, jotka ovat veren hyytymistä edistäviä osatekijöitä) keskimäärin 40 päivän kuluttua Zemcelpro-hoidosta. Päivään 100 mennessä 17 potilaasta 25:stä (68 %) oli saavuttanut tämän.

Edellä esitetyt tulokset osoittavat, että siirto onnistui ja että luuydin alkoi tuottaa uusia verisoluja.

Mitä riskejä Zemcelpro-valmisteseen liittyy?

Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Zemcelpron haittavaikutuksista ja rajoituksista.

Zemcelpron yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua useammalle kuin yhdelle potilaalle kymmenestä) ovat lymfopenia (imusolujen, yhden valkosolutyypin, vähäisyys veressä), infektiot, anemia (punasolujen vähäisyys), neutropenia (neutrofiilien vähäisyys), trombosytopenia (verihitaleiden vähäisyys), leukopenia (veren valkosolujen vähäisyys), hypogammaglobulinemia (veren vasta-aineiden vähäisyys), kuumeinen neutropenia (neutrofiilien vähäisyys ja siihen liittyvä kuume), korkea verenpaine, engraftment-oireyhtymä (hematopoieettisen kantasolusiirron komplikaatio, johon liittyy kuumetta, ihottumaa tai muita tulehdusreaktioita) ja keuhkokuume (tulehdus keuhkoissa). Akuutista käänteishyljinnästä (käänteishyljintäsairaus, jossa luovuttajasolut hyökkäävät elimistöä vastaan pian siirron jälkeen) ilmoitettiin 60 prosentilla potilaista ja kroonisesta käänteishyljinnästä (joka yleensä kehittyy akuutin käänteishyljinnän jälkeen muutaman viikon tai kuukauden kuluessa siirrosta) 16 prosentilla potilaista.

Kuolemaan johtaneita haittavaikutuksia esiintyi noin 8 %:lla Zemcelpro-hoitoa saaneista potilaista. Niitä olivat infektiot, akuutti käänteishyljintäsairaus, keuhkojen alveolaarinen verenvuoto (verenvuoto keuhkorakkuloihin), keuhkotulehdus (esimerkiksi idiopaattinen keuhkokuumeoireyhtymä ja

kryptogeeninen organisoituva keuhkokuume) ja keuhkoverenpainetauti (korkea verenpaine keuhkoihin verta tuovissa verisuonissa).

Miksi Zemcelpro on hyväksytty EU:ssa?

Myyntiluvan myöntämisen aikaan kliinisenä haasteena oli sellaisten verisyöpiä sairastavien potilaiden hoito, jotka tarvitsivat hematopoieettisen kantasolusiirron ja joille ei ollut saatavissa muita sopivia luovutettuja soluja. Näillä potilailla ei ollut muita hoitovaihtoehtoja, ja heidän selviytymismahdollisuutensa olivat vähäiset.

Käynnissä olevissa tutkimuksissa muutamista potilaista saatujen tulosten perusteella neutrofiilien ja verihiutaleiden toipuminen ja palautuminen Zemcelpro-hoidon jälkeen oli nopeaa, vakaata ja jatkuvaa, mikä osoittaa, että Zemcelprosta voi olla hyötyä näille potilaille. Zemcelpron turvallisuutta pidettiin hyväksyttävänä näillä potilailla, joilla ei ollut muita hoitovaihtoehtoja myyntiluvan myöntämisaikana.

Zemcelprolle annettiin ehdollinen myyntilupa EU:ssa. Tämä tarkoittaa, että sille on myönnetty myyntilupa tavanomaista suppeampien tietojen perusteella, koska se vastaa täyttämättömään lääketieteelliseen tarpeeseen. Euroopan lääkevirasto katsoo, että lääkevalmisteen varhennetun käyttöönoton hyödyt ovat sen riskejä suuremmat, kun sitä käytetään lisänäyttöä odotettaessa.

Yhtiön on toimitettava lisätietoja Zemcelprosta. Sen on toimitettava lopulliset tulokset Zemcelpron kahdesta meneillään olevasta päätutkimuksesta ja kahdesta lisätutkimuksesta sekä tiedot toisesta tutkimuksesta, joka perustuu Zemcelpro-valmistetta saaneiden potilaiden rekisteriin. Virasto arvioi vuosittain mahdollisesti saataville tulevat uudet tiedot.

Miten voidaan varmistaa Zemcelpron turvallinen ja tehokas käyttö?

Zemcelpron turvallisen ja tehokkaan käytön varmistamiseksi valmisteyhteenvedoon ja pakkausselosteeseen on sisällytetty suosituksia ja varoituksia terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden noudatettavaksi.

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

Muita tietoja Zemcelprosta

Lisätietoja Zemcelprosta on viraston verkkosivustolla osoitteessa

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