



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

16. syyskuuta 2021
EMA/546292/2021

Ihmisille tarkoitettuja lääkkeitä käsittelevä komitea hyväksyy arvioinnin, jonka mukaan Zynteglon virusvektorin ja verisyövän välillä ei ole yhteyttä

Ihmisille tarkoitettuja lääkkeitä käsittelevä Euroopan lääkeviraston komitea (CHMP) hyväksyi 22. heinäkuuta 2021 arvioinnin tulokset, joiden mukaan ei ole näyttöä siitä, että Zynteglo aiheuttaisi akuutti myeloinen leukemia -nimistä (AML) verisyöpää.

Zynteglo on geeniterapiavalmiste beetatalassemia-veritaudin hoitamiseen. Se sisältää virusvektorin (tai muunnetun viruksen), joka kuljettaa toimivan geenin potilaan verisoluihin.

Arvioinnissa tarkasteltiin kahta tapausta, joissa potilaille oli kehittynyt akuutti myeloinen leukemia sen jälkeen, kuin heitä oli hoidettu bb1111-tutkimuslääkkeellä sirppisolutautia koskevassa kliinisessä tutkimuksessa. Zynteglon käytön yhteydessä ei ole ilmoitettu AML-tapauksista, mutta koska molemmissa lääkkeissä käytetään samaa virusvektoria, huolena oli, että vektori saattaa vaikuttaa syövän kehittymiseen (insertionaalinen onkogeneesi).

Euroopan lääkeviraston lääketurvallisuuden riskinarviointikomitean (PRAC) tekemässä ja pitkälle kehitettyjä terapioita käsittelevän komitean (CAT) asiantuntijoiden tukemassa arvioinnissa pidettiin epätodennäköisenä, että virusvektori olisi syynä tähän. Toisella potilaista virusvektoria ei ollut syöpäsoluissa ja toisella potilaalla se oli geenissä (VAMP4), joka ei näytä vaikuttavan syövän kehittymiseen.

Kun kaikki näyttö oli tutkittu, oli selvää, että todennäköisempiä selityksiä AML:n esiintymiselle olivat potilaiden saama valmistava hoito luuytimen solujen tuhoamiseksi ja sirppisolutautia sairastavien potilaiden suurentunut verisyövän riski.

Myös potilaat, jotka saavat Zynteglo-hoitoa beetatalassemiaan, tarvitsevat valmistavaa hoitoa luuytimen solujen tuhoamiseksi ennen Zynteglon saamista. Siksi terveydenhuollon ammattilaisten on nimenomaisesti kerrottava Zyntegloa saaville potilaille suurentuneesta verisyöpäriskistä, joka liittyy valmistavassa hoidossa käytettäviin lääkkeisiin.

Ihmisille tarkoitettuja lääkkeitä käsittelevä komitea hyväksyi potilaiden seuranta koskevien suositusten ajantasaisuuden. Terveydenhuollon ammattilaisten on nyt seurattava potilaita verisyöpien merkkien varalta **vähintään** kerran vuodessa 15 vuoden ajan.¹

¹ Aiemman suosituksen mukaan terveydenhuollon ammattilaisten on tarkastettava kerran vuodessa, onko syöpään viittaavia merkkejä havaittavissa.



Ihmisille tarkoitettuja lääkkeitä käsittelevä komitea katsoi, että Zynteglon hyöty on edelleen sen riskejä suurempi. Kuten kaikkien lääkkeiden kohdalla, Euroopan lääkevirasto seuraa valmisteen turvallisuudesta saatavia uusia tietoja ja tarvittaessa ajantasaistaa potilaille ja terveydenhuollon ammattilaisille tarkoitettuja ohjeita.

Tietoa potilaille

- Euroopan lääkeviraston tekemässä arvioinnissa ei löydetty näyttöä siitä, että Zynteglon virusvektori aiheuttaisi akuutti myeloinen leukemia -nimistä (AML) verisyöpää.
- Zynteglon käyttöä voidaan jatkaa entiseen tapaan. Terveydenhuollon ammattilainen saattaa kuitenkin kutsua sinut syöpäseulontaan useammin kuin kerran vuodessa.
- Jos sinulla on kysyttävää hoidostasi, käänny terveydenhuollon ammattilaisen puoleen.

Tietoja terveydenhuollon ammattilaisille

- Euroopan lääkeviraston tekemässä arvioinnissa todettiin, ettei ole näyttöä siitä, että Zynteglon virusvektori aiheuttaisi AML:ää.
- Sille, että samaa virusvektoria toisessa lääkkeessä saaneille potilaille kehittyi AML, on todennäköisempiä selityksiä kuin insertionaalinen onkogeneesi. Tällaisia ovat muun muassa potilaiden saama valmistava hoito ja sirppisolutautia sairastavien potilaiden suurentunut verisyövän riski.
- Terveydenhuollon ammattilaisten on nimenomaisesti kerrottava Zyntegloa saaville potilaille suurentuneesta verisyöpäriskistä, joka liittyy valmistavassa hoidossa käytettäviin lääkkeisiin.
- Terveydenhuollon ammattilaisten on jatkettava potilaiden seuranta syövän varalta. Euroopan lääkevirasto on ajantasaistanut syöpäseulontaa koskevan suosituksensa ja muuttanut vaatimusta kerran vuodessa suoritettavasta seurannasta **vähintään** kerran vuodessa suoritettavaan seurantaan.

Lisätietoa lääkevalmisteesta

Zynteglo on lääke, jota käytetään beetatalassemia-nimisen verisairauden kertahoitona vähintään 12 vuoden ikäisillä potilailla, jotka tarvitsevat säännöllisesti verensiirtoja.

Zynteglon valmistamiseksi potilaan veren kantasoluja muunnellaan käyttämällä virusta, joka kuljettaa beetaglobiinigeenien toimivia kopioita soluihin. Kun nämä muunnellut solut siirretään potilaaseen takaisin, ne kulkeutuvat verenkierron luuytimeen, jossa ne alkavat valmistaa beetaglobiinia tuottavia terveitä veren punasoluja. Zynteglon vaikutuksen odotetaan kestävän koko potilaan eliniän.

Zynteglolle myönnettiin ehdollinen myyntilupa toukokuussa 2019. Ehdollinen myyntilupa tarkoittaa sitä, että lääkevalmisteesta on odotettavissa lisää yhtiön toimittamaa tietoa. Euroopan lääkevirasto arvioi säännöllisesti saataville tulevat uudet tiedot.

Lisätietoa menettelystä

Zynteglon arviointi käynnistettiin 18. helmikuuta 2021 Euroopan komission pyynnöstä [asetuksen \(EY\) N:o 726/2004 20 artiklan](#) nojalla.

Ensimmäisen arvioinnin teki lääketurvallisuuden riskinarviointikomitea (PRAC), joka vastaa ihmisille tarkoitettujen lääkkeiden turvallisuuden arvioinnista. Komitea työskenteli tiiviissä yhteistyössä [pitkälle kehitettyjä terapioida käsittelevän komitean \(CAT\)](#) asiantuntijoiden kanssa.

PRACin suositukset toimitettiin pitkälle kehitettyjä terapioida käsittelevälle komitealle, joka antoi PRACin suositusten kanssa yhteneväisen lausuntoluonnoksen 16. heinäkuuta 2021, ja sen jälkeen ihmisille tarkoitettuja lääkkeitä käsittelevälle komitealle (CHMP), joka vastaa ihmisten käyttöön tarkoitettuja lääkkeitä koskevista kysymyksistä. Ihmisille tarkoitettuja lääkkeitä käsittelevä komitea hyväksyi 22. heinäkuuta 2021 viraston lopullisen lausunnon, jossa otetaan huomioon pitkälle kehitettyjä terapioida käsittelevän komitean lausuntoluonnos. Ihmisille tarkoitettuja lääkkeitä käsittelevän komitean lausunto toimitettiin Euroopan komissiolle, joka teki asiasta oikeudellisesti sitovan ja kaikkiin EU:n jäsenvaltioihin sovellettavan lopullisen päätöksen 16. syyskuuta 2021.