



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zemcelpro (*dorocubicel/cellules CD34— non expansées*)

Aperçu de Zemcelpro et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

Qu'est-ce que Zemcelpro et dans quel cas est-il utilisé?

Zemcelpro est un médicament à base de cellules souches utilisé pour traiter les adultes atteints d'hémopathies malignes (cancers des cellules sanguines) qui ont besoin d'une greffe de cellules souches hématopoïétiques allogéniques (allo-CSH) et pour lesquels aucun autre type de cellules de donneur approprié n'est disponible.

La greffe de cellules souches hématopoïétiques allogéniques est une procédure au cours de laquelle la moelle osseuse du patient (tissu spongieux à l'intérieur des gros os où les cellules sanguines sont produites) est débarrassée des cellules, qui sont ensuite remplacées par des cellules provenant d'un donneur compatible; les cellules greffées se multiplient et se développent en cellules sanguines et immunitaires spécialisées et saines. Zemcelpro est administré après que les patients ont reçu un traitement de conditionnement (préparatoire) par des médicaments anticancéreux pour débarrasser la moelle osseuse des cellules qui s'y trouvent.

La greffe de cellules souches hématopoïétiques allogéniques est une procédure rare, et Zemcelpro a été désigné comme étant un «médicament orphelin» (médicament utilisé pour des maladies rares), destiné à être utilisé chez les patients nécessitant une greffe de cellules souches hématopoïétiques allogéniques, le 22 avril 2020. Des informations complémentaires sur les désignations de médicaments orphelins sont disponibles sur le [site web](#) de l'EMA.

Zemcelpro est spécialement conçu pour chaque patient. Il contient deux types de cellules souches provenant d'un don de sang de cordon ombilical: le dorocubicel (cellules CD34+ expansées; expansées signifie que les cellules ont été cultivées et multipliées en laboratoire) et les cellules CD34— non expansées.

Comment Zemcelpro est-il utilisé?

Zemcelpro n'est délivré que sur ordonnance. Il doit être administré dans un centre de transplantation qualifié, spécialisé dans la greffe de cellules souches hématopoïétiques, par un médecin expérimenté dans le traitement des cancers des cellules sanguines.

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



Zemcelpro est administré une seule fois en dose unique, par perfusion (goutte-à-goutte) dans une veine. Une dose unique de Zemcelpro se compose de 1 à 4 poches de perfusion contenant du dorocubicel et de 4 poches contenant des cellules CD34 non expansées.

Avant et après le traitement par Zemcelpro, les patients reçoivent d'autres médicaments afin de réduire le risque de réactions liées à la perfusion et de prévenir les complications liées à la greffe.

Pour plus d'informations sur les conditions d'utilisation de Zemcelpro, voir la notice ou contacter votre médecin.

Comment Zemcelpro agit-il?

Zemcelpro est utilisé pour traiter les patients atteints de cancers du sang qui ont besoin d'une greffe de cellules souches hématopoïétiques allogéniques et pour lesquels aucun autre type de cellules de donneur approprié n'est disponible.

Les cellules sanguines du cordon ombilical peuvent être utilisées chez ces patients; toutefois, pour certains patients, aucun sang de cordon ombilical approprié n'est disponible en raison d'un faible nombre de cellules souches dans le don de sang de cordon ombilical. Un faible nombre de cellules souches dans le sang de cordon ombilical peut retarder la prise de greffe (lorsque les cellules greffées commencent à croître et à produire des cellules sanguines saines).

Dans Zemcelpro, certaines des cellules souches du cordon ombilical sont cultivées et multipliées en laboratoire, puis administrées en même temps que des cellules non expansées provenant du même sang de cordon ombilical. Les cellules CD34+ expansées favorisent principalement la croissance de cellules sanguines saines, alors que les cellules CD34— non expansées soutiennent ce processus et contribuent également à l'élimination des cellules cancéreuses restantes. Après la perfusion, les cellules souches de Zemcelpro migrent vers la moelle osseuse, où elles se multiplient, mûrissent et se développent en cellules sanguines spécialisées saines et en cellules immunitaires.

Quels sont les bénéfices de Zemcelpro démontrés au cours des études?

Les bénéfices de Zemcelpro ont été démontrés dans deux études principales incluant 25 patients atteints de leucémie à haut risque ou de myélodysplasie (types de cancer du sang) qui avaient besoin d'une greffe de cellules souches hématopoïétiques allogéniques et pour lesquels aucun autre type de cellules de donneur approprié n'était disponible. Dans les études en cours, Zemcelpro n'a pas été comparé à d'autres traitements.

Les études ont montré que le temps moyen nécessaire aux patients pour obtenir la prise de greffe pour les neutrophiles (lorsque les cellules greffées commencent à croître et à produire des neutrophiles, un type de globules blancs) après avoir reçu Zemcelpro était de 20 jours. Au jour 42, 21 patients sur 25 (84 %) avaient obtenu une prise de greffe pour les neutrophiles.

En outre, les patients ont obtenu une prise de greffe pour les plaquettes (lorsque les cellules greffées commencent à croître et à produire des plaquettes, composants qui aident le sang à coaguler) 40 jours en moyenne après avoir reçu Zemcelpro; au jour 100, 17 patients sur 25 (68 %) avaient obtenu une prise de greffe pour les plaquettes.

Les résultats ci-dessus indiquent que la greffe a été un succès et que de nouvelles cellules sanguines ont commencé à être produites dans la moelle osseuse.

Quels sont les risques associés à l'utilisation de Zemcelpro?

Pour une description complète des effets indésirables et des restrictions associés à Zemcelpro, voir la notice.

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Zemcelpro (qui peuvent toucher plus d'une personne sur 10) sont notamment la lymphopénie (faible taux de lymphocytes, un type de globules blancs), les infections, l'anémie (faible taux de globules rouges), la neutropénie (faible taux de neutrophiles), la thrombocytopénie (faible taux de plaquettes sanguines), leucopénie (faible taux de globules blancs), hypogammaglobulinémie (diminution du taux d'anticorps dans le sang), neutropénie fébrile (faible taux de neutrophiles accompagné de fièvre), hypertension (pression artérielle élevée), syndrome de prise de greffe (complication de la greffe de cellules souches hématopoïétiques allogéniques accompagnée de symptômes tels que fièvre, éruption cutanée et autres réactions inflammatoires) et pneumonie (infection des poumons). La maladie aiguë du greffon contre l'hôte (GvHD), lorsque les cellules donneuses attaquent l'organisme peu après une greffe) a été signalée chez 60 % des patients, et une GvHD chronique (qui se développe généralement plus tard que la GvHD aiguë, plusieurs semaines ou plusieurs mois après la greffe) a été signalée chez 16 % des patients.

Des effets indésirables entraînant la mort sont survenus chez environ 8 % des patients traités par Zemcelpro, notamment des infections, une GvHD aiguë, une hémorragie alvéolaire pulmonaire (une maladie dans laquelle des saignements se produisent dans les alvéoles pulmonaires), une pneumopathie (inflammation pulmonaire, telle qu'un syndrome de pneumonie idiopathique et une pneumonie organisée cryptogénique) et une hypertension pulmonaire (hypertension artérielle dans les vaisseaux sanguins qui alimentent les poumons).

Pourquoi Zemcelpro est-il autorisé dans l'UE?

Au moment de l'autorisation, le traitement des patients atteints de cancers des cellules sanguines qui avaient besoin d'une greffe de cellules souches hématopoïétiques allogéniques et pour lesquels aucun autre type de cellules de donneur approprié n'était disponible représentait un problème clinique. Ces patients n'avaient pas d'autres options de traitement disponibles et les chances de guérison étaient minimes.

À la lumière des résultats d'un petit nombre de patients dans les études en cours, la récupération des neutrophiles et des plaquettes après le traitement par Zemcelpro était rapide, robuste et soutenue, ce qui indique que Zemcelpro peut être bénéfique pour ces patients. La sécurité de Zemcelpro a été jugée acceptable chez ces patients ne disposant d'aucune autre option thérapeutique au moment de l'autorisation.

Zemcelpro a obtenu une autorisation conditionnelle d'utilisation dans l'UE. L'autorisation conditionnelle est accordée sur la base de données moins détaillées que celles qui sont normalement requises. Elle est accordée pour les médicaments qui répondent à un besoin médical non satisfait. L'Agence européenne des médicaments considère que les bénéfices de la mise à disposition anticipée du médicament sont supérieurs aux risques associés à son utilisation, dans l'attente de preuves supplémentaires.

La société doit fournir des données supplémentaires sur Zemcelpro. Elle doit soumettre les résultats finaux des deux études principales en cours et de deux études supplémentaires avec Zemcelpro et fournir les données d'une autre étude basée sur un registre de patients traités par Zemcelpro. Chaque année, l'Agence examinera toute nouvelle information disponible.

Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Zemcelpro?

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Zemcelpro ont été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Comme pour tous les médicaments, les données sur l'utilisation de Zemcelpro sont surveillées en permanence. Les effets indésirables suspectés rapportés sous Zemcelpro sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

Autres informations relatives à Zemcelpro:

De plus amples informations sur Zemcelpro sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zemcelpro