



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/116138/2024
EMA/H/C/00462

Abecma (*idekaptagen vikleucel*)

Pregled informacija o lijeku Abecma i zašto je odobren u EU-u

Što je Abecma i za što se koristi?

Abecma je lijek koji se koristi za liječenje odraslih osoba oboljelih od multiplog mijeloma (raka koštane srži) u kojih se rak vratio (relaps) i koje nisu odgovorile na liječenje (refraktorna bolest). Koristi se u odraslih osoba koje su prethodno primile barem dvije terapije, uključujući imunomodulatorni agens, inhibitor proteasoma i protutijelo na enzim CD38, a čija se bolest pogoršala od posljednjeg liječenja.

Abecma je vrsta lijeka za naprednu terapiju koja se naziva „genska terapija“. Riječ je o vrsti lijeka koja djeluje unosom gena u tijelo.

Multipli mijelom rijetka je bolest, a lijek Abecma dobio je status „lijeka za rijetku bolest“ 20. travnja 2017. Više informacija o statusu lijekova za rijetke bolesti dostupno je ovdje:

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu3171863>

Abecma sadrži djelatnu tvar idekaptagen vikleucel, koja se sastoji od genetski modificiranih T-stanica (vrste bijelih krvnih stanica).

Kako se Abecma primjenjuje?

Abecma se priprema s pomoću T-stanica koje su ekstrahirane iz krvi samog bolesnika i genetski modificirane u laboratoriju. Abecma se može primjenjivati samo u bolesnika čije su stanice upotrijebljene za pripremu lijeka.

Daje se kao jedna infuzija (ukapavanje) u venu. Prije lijeka Abecma bolesnik treba primiti kratak ciklus kemoterapije kako bi se uklonile postojeće bijele krvne stanice. Neposredno prije infuzije bolesnicima se daje paracetamol i antihistaminik kako bi se smanjio rizik od reakcija na infuziju.

Moraju biti dostupni lijek tocilizumab i oprema za hitnu medicinsku pomoć u slučaju da se u bolesnika razvije potencijalno ozbiljna nuspojava koja se naziva sindrom otpuštanja citokina (potencijalno po život opasna prekomjerna aktivacija imunostnog sustava praćena vrućicom, nedostatkom zraka, niskim krvnim tlakom i glavoboljom).

Tijekom deset dana nakon liječenja bolesnike je potrebno pažljivo pratiti kako bi se uočile moguće nuspojave i savjetovati im boravak u blizini specijalizirane bolnice tijekom najmanje četiri tjedna nakon liječenja.

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



Za više informacija o primjeni lijeka Abecma pročitajte uputu o lijeku odnosno obratite se svojem pružatelju zdravstvenih usluga.

Kako djeluje Abecma?

Abecma sadrži T-stanice bolesnika, koje su genetski modificirane u laboratoriju kako bi mogle proizvoditi protein naziva kimerični antigenski receptor (engl. *chimeric antigen receptor*, CAR). CAR se na površini stanica raka može vezati na protein naziva antigen za sazrijevanje B-stanica (engl. *B-cell maturation antigen*, BCMA).

Kada bolesnik primi lijek Abecma, modificirane T-stanice vežu se na BCMA te potom uništavaju stanice raka, čime pomažu pri uklanjanju raka iz tijela.

Koje su koristi od lijeka Abecma utvrđene u ispitivanjima?

U glavnom ispitivanju na 140 bolesnika s multiplim mijelomom u kojih bolest nije odgovorila na najmanje tri prethodna liječenja (refraktorni mijelom) i vratila se (relapsni mijelom) utvrđeno je da se lijekom Abecma učinkovito uništava rak. U tom ispitivanju lijek Abecma nije bio uspoređen s drugim lijekovima ni s placebom (prividnim liječenjem). Ukupno gledajući, 30 % bolesnika u potpunosti je odgovorilo na terapiju (što znači da nisu ostali nikakvi znakovi raka), a 67 % njih imalo je barem djelomičan odgovor uz terapiju lijekom Abecma.

U dodatnom ispitivanju sudjelovalo je 386 bolesnika s multiplim mijelomom koji su prethodno primili najmanje dvije terapije. U tom je ispitivanju lijek Abecma uspoređen s drugim lijekovima za liječenje multiplog mijeloma (standardnim terapijama). Bolesnici koji su primali lijek Abecma živjeli su u prosjeku 13,8 mjeseci bez pogoršanja bolesti, u usporedbi s 4,4 mjeseca u onih koji su primali standardne terapije. Ukupno je 71 % bolesnika odgovorilo na terapiju lijekom Abecma, u usporedbi s 42 % bolesnika koji su primali standardne terapije. Odgovor je u prosjeku trajao 16,5 mjeseci nakon primjene lijeka Abecma, u usporedbi s 9,7 mjeseci nakon primjene standardnih terapija.

Koji su rizici povezani s lijekom Abecma?

Potpuni popis nuspojava i ograničenja povezanih s lijekom Abecma potražite u uputi o lijeku.

Najčešće nuspojave (koje se mogu javiti u više od 1 na 5 osoba) uključuju neutropeniju (niske razine neutrofila, vrste bijelih krvnih stanica), sindrom otpuštanja citokina, anemiju (niske razine crvenih krvnih stanica), trombocitopeniju (niske razine trombocita, pločica koje pomažu pri zgrušavanju krvi), infekcije, hipofosfatemiju (niske razine fosfata u krvi), proljev, leukopeniju (niske razine bijelih krvnih stanica), hipokalijemiju (niske razine kalija u krvi), umor, mučninu, limfopeniju (niske razine limfocita), vrućicu, virusne infekcije, glavobolju, hipokalcijemiju (niske razine kalcija u krvi), hipomagnezijemiju (niske razine magnezija u krvi) i bol u zglobovima.

Najčešće ozbiljne nuspojave uključuju sindrom otpuštanja citokina (10 %) i pneumoniju (upalu pluća, 7 %).

Osobe koje ne mogu primiti kemoterapiju kako bi se odstranile njihove postojeće bijele krvne stanice ne smiju primati lijek Abecma.

Zašto je lijek Abecma odobren u EU-u?

Lijekom Abecma postignuta je klinički značajna stopa odgovora u bolesnika s multiplim mijelomom u kojih je došlo do relapsa bolesti i koji nisu odgovorili na prethodno liječenje. Osim toga, bolesnici koji su primali lijek Abecma živjeli su dulje bez pogoršanja bolesti u usporedbi s onima koji su primali

standardnu terapiju. Moguće su ozbiljne nuspojave, osobito sindrom otpuštanja citokina. Međutim, one se mogu kontrolirati ako se poduzmu odgovarajuće mjere (vidjeti u nastavku). Europska agencija za lijekove zaključila je da koristi od lijeka Abecma nadmašuju s njim povezane rizike te da lijek može biti odobren za primjenu u EU-u.

Za lijek Abecma prvotno je izdano „uvjetno odobrenje” jer su se očekivali dodatni podatci o lijeku. Budući da je tvrtka dostavila potrebne dodatne informacije, uvjetno odobrenje promijenjeno je u standardno odobrenje.

Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Abecma?

Tvrtka koja stavlja lijek Abecma u promet mora osigurati da bolnice u kojima se lijek daje imaju odgovarajuće stručno znanje, prostorije i mogućnosti iza obuku. Mora biti dostupan tocilizumab u slučaju da dođe do sindroma otpuštanja citokina. Osim toga, tvrtka će zdravstvenim radnicima koji sudjeluju u liječenju bolesnika osigurati edukacijski program o tome kako prepoznati i kontrolirati sindrom otpuštanja citokina. Tvrtka također mora bolesnicima osigurati kartice s informacijama o sindromu otpuštanja citokina i ozbiljnim nuspojavama koje pogađaju živčani sustav te o tome kad i gdje zatražiti pomoć ako se one pojave. Ta će kartica sadržavati i obavijest zdravstvenim radnicima da bolesnik prima lijek Abecma.

Uz to, tvrtka mora provesti ispitivanje kako bi prikupila više informacija o dugoročnoj sigurnosti primjene i učinkovitosti lijeka Abecma.

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati u cilju sigurne i učinkovite primjene lijeka Abecma nalaze se također u sažetku opisa svojstava lijeka i u uputi o lijeku.

Kao i za sve lijekove, podatci o primjeni lijeka Abecma kontinuirano se prate. Sumnje na nuspojave prijavljene za lijek Abecma pažljivo se procjenjuju i poduzimaju se sve potrebne mjere za zaštitu bolesnika.

Ostale informacije o lijeku Abecma

Za lijek Abecma izdano je uvjetno odobrenje za stavljanje u promet koje je na snazi u EU-u od 18. kolovoza 2021. To je odobrenje pretvoreno u standardno odobrenje za stavljanje lijeka u promet 19. ožujka 2024.

Više informacija o lijeku Abecma dostupno je na mrežnom mjestu Agencije:

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

Pregled informacija posljednji je put ažuriran u 03. 2024.