



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zemcelpro (*dorokubicel / neekspandirane CD34- stanice*)

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

Što je Zemcelpro i za što se koristi?

Zemcelpro je lijek s matičnim stanicama koji se primjenjuje za liječenje odraslih osoba s hematološkim malignim bolestima (rak krvnih stanica) kojima je potrebna alogena transplantacija hematopoetskih matičnih stanica (alogeni HSCT) i za koje nije dostupna druga vrsta prikladnih stanica darivatelja.

Alogeni HSCT postupak je u kojem se iz koštane srži bolesnika (spužvasto tkivo unutar velikih kostiju u kojima se proizvode krvne stanice) odstranjuju stanice, koje se zatim zamjenjuju stanicama podudarnog darivatelja; transplantirane stanice umnožavaju se i razvijaju u zdrave specijalizirane krvne i imunosne stanice. Lijek Zemcelpro primjenjuje se nakon što su bolesnici primili (pripremnu) terapiju za kondicioniranje lijekovima protiv raka kako bi se uklonile stanice iz koštane srži.

HSCT je rijedak postupak, a lijek Zemcelpro je 22. travnja 2020. dobio status „lijeka za rijetku bolest” za primjenu u bolesnika kojima je potreban postupak HSCT. Više informacija o statusu lijekova za rijetke bolesti dostupno je na [mrežnom mjestu](#) EMA-e.

Lijek Zemcelpro proizvodi se posebno za svakog bolesnika. Sadrži dvije vrste matičnih stanica iz donirane krvi iz pupkovine: dorokubicel (ekspandirane CD34+ stanice; ekspandirane znači da su stanice uzgojene i umnožene u laboratoriju) i neekspandirane CD34- stanice.

Kako se Zemcelpro primjenjuje?

Lijek Zemcelpro izdaje se samo na recept. Mora ga primjenjivati liječnik s iskustvom u liječenju raka krvnih stanica u kvalificiranom centru za transplantaciju sa stručnim znanjem u području HSCT-a.

Lijek Zemcelpro primjenjuje se jednom kao jedna doza, infuzijom (ukapavanjem) u venu. Jedna doza lijeka Zemcelpro sastoji se od jedne do četiri infuzijske vrećice koje sadrže dorokubicel i četiri vrećice koje sadrže neekspandirane CD34- stanice.

Prije i nakon terapije lijekom Zemcelpro bolesnicima se daju drugi lijekovi kako bi se smanjio rizik od reakcija povezanih s infuzijom i spriječile komplikacije transplantacije.

Za više informacija o primjeni lijeka Zemcelpro pročitajte uputu o lijeku odnosno obratite se liječniku ili ljekarniku.

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



Kako djeluje Zemcelpro?

Zemcelpro se primjenjuje za liječenje bolesnika oboljelih od raka krvi kojima je potreban alogeni HSCT i za koje nije dostupna druga vrsta prikladnih stanica darivatelja.

U tih se bolesnika mogu koristiti krvne stanice iz pupkovine. Međutim, u nekih bolesnika nije dostupna odgovarajuća krv iz pupkovine zbog malog broja matičnih stanica u doniranoj krvi iz pupkovine. Mali broj matičnih stanica u krvi iz pupkovine može odgoditi usađivanje (kada transplantirane stanice počnu rasti i proizvoditi zdrave krvne stanice).

U lijeku Zemcelpro neke od matičnih stanica iz pupkovine uzgajaju se i umnožavaju u laboratoriju, a zatim se daju zajedno s neekspandiranim stanicama iz iste krvi iz pupkovine. Ekspandirane CD34+ stanice uglavnom potiču rast zdravih krvnih stanica, dok neekspandirane CD34- stanice podržavaju rast zdravih krvnih stanica i pomažu u uklanjanju svih preostalih stanica raka. Nakon infuzije, matične stanice iz lijeka Zemcelpro migriraju u koštanu srž gdje se umnožavaju, sazrijevaju i razvijaju u zdrave specijalizirane krvne i imunosne stanice.

Koje su koristi od lijeka Zemcelpro utvrđene u ispitivanjima?

Koristi od lijeka Zemcelpro utvrđene su dvama glavnim ispitivanjima koja su obuhvatila 25 bolesnika s visokorizičnom leukemijom ili mijelodisplazijom (vrstom raka krvi) kojima je bio potreban alogeni HSCT i za koje nije bila dostupna nijedna druga vrsta prikladnih stanica darivatelja. U ispitivanjima koja su u tijeku lijek Zemcelpro nije uspoređen ni s jednom drugom terapijom.

Ispitivanja su pokazala da je prosječno vrijeme koje je bolesnicima bilo potrebno za postizanje usađivanja neutrofila (kada transplantirane stanice počnu rasti i proizvoditi neutrofile, vrstu bijelih krvnih stanica) nakon primanja lijeka Zemcelpro iznosilo 20 dana. Do 42. dana u 21 od 25 bolesnika (84 %) došlo je do usađivanja neutrofila.

Osim toga, bolesnici su postigli usađivanje trombocita (kada transplantirane stanice počnu rasti i proizvoditi trombocite, komponente koje pomažu u zgrušavanju krvi) u prosjeku 40 dana nakon primanja lijeka Zemcelpro; do 100. dana 17 od 25 bolesnika (68 %) postiglo je usađivanje trombocita.

Prethodno navedeni rezultati upućuju na to da je transplantacija bila uspješna i da su se u koštanoj srži počele proizvoditi nove krvne stanice.

Koji su rizici povezani s lijekom Zemcelpro?

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

Najčešće nuspojave lijeka Zemcelpro (koje se mogu javiti u više od 1 na 10 osoba) uključuju limfopeniju (niske razine limfocita, vrste bijelih krvnih stanica), infekcije, anemiju (niske razine crvenih krvnih stanica), neutropeniju (niske razine neutrofila), trombocitopeniju (niske razine trombocita u krvi), leukopeniju (niske razine bijelih krvnih stanica), hipogamaglobulinemiju (smanjene razine protutijela u krvi), febrilnu neutropeniju (niske razine neutrofila s vrućicom), hipertenziju (visok krvni tlak), sindrom usađivanja (komplikaciju HSCT-a sa simptomima kao što su vrućica, osip i drugi upalni odgovori) i pneumoniju (infekciju pluća). Akutna reakcija presatka protiv primatelja (engl. *graft-versus-host disease*, GvHD, kada stanice darivatelja napadaju tijelo ubrzo nakon transplantacije) prijavljena je u 60 % bolesnika, a kronični GvHD (koji se obično razvija kasnije od akutnog GvHD-a, u roku od nekoliko tjedana do mjeseci nakon transplantacije) prijavljen je u 16 % bolesnika.

Nuspojave koje su dovele do smrti pojavile su se u oko 8 % bolesnika liječenih lijekom Zemcelpro, a uključivale su infekcije, akutni GvHD, plućno alveolarno krvarenje (stanje u kojem dolazi do krvarenja u zračnim vrećicama pluća), pneumonitis (upala u plućima, kao što je sindrom idiopatske upale pluća i

kriptogena organizirajuća upala pluća) i plućna hipertenzija (visok krvni tlak u krvnim žilama koje opskrbljuju pluća).

Zašto je lijek Zemcelpro odobren u EU-u?

U trenutku izdavanja odobrenja liječenje bolesnika s rakom krvnih stanica kojima je bio potreban HSCT i za koje nije bila dostupna nijedna druga vrsta prikladnih stanica darivatelja predstavljalo je klinički izazov. Ti bolesnici nisu imali druge mogućnosti liječenja i izgledi za oporavak bili su minimalni.

Na temelju rezultata za mali broj bolesnika u ispitivanjima koja su u tijeku, oporavak neutrofila i trombocita nakon liječenja lijekom Zemcelpro bio je brz, stabilan i postojan, što upućuje na to da lijek Zemcelpro može biti koristan tim bolesnicima. Sigurnost lijeka Zemcelpro smatrala se prihvatljivom u tih bolesnika bez drugih mogućnosti liječenja u trenutku izdavanja odobrenja.

Za lijek Zemcelpro izdano je uvjetno odobrenje za primjenu u EU-u. To znači da je lijek odobren na temelju manje opsežnih podataka nego što je to obično potrebno, jer ispunjava nezadovoljenu medicinsku potrebu. Europska agencija za lijekove smatra da korist od ranijeg stavljanja lijeka na raspolaganje nadmašuje sve rizike povezane s njegovom primjenom dok se čekaju dodatni dokazi.

Tvrtka mora dostaviti dodatne podatke o lijeku Zemcelpro. Mora dostaviti konačne rezultate dvaju glavnih ispitivanja koja su u tijeku i dvaju dodatnih ispitivanja lijeka Zemcelpro te dostaviti podatke iz drugog ispitivanja na temelju registra bolesnika liječenih lijekom Zemcelpro. Svake će godine Europska agencija za lijekove procijeniti sve nove informacije koje postanu dostupne.

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

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

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

Ostale informacije o lijeku Zemcelpro

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

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