



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

16. rujna 2021.
EMA/546292/2021

CHMP je potvrdio pregled u kojem nije utvrđena veza između virusnog vektora u lijeku Zynteglo i raka krvi.

Odbor EMA-e za lijekove za humanu uporabu (CHMP) potvrdio je 22. srpnja 2021. rezultate pregleda u kojem je zaključeno da nema dokaza da lijek Zynteglo uzrokuje rak krvi pod nazivom akutna mijeloična leukemija (AML).

U lijeku Zynteglo, genskoj terapiji za poremećaj krvi beta-talasemiju, upotrebljava se virusni vektor (ili modificirani virus) za isporuku funkcionalnog gena u krvne stanice bolesnika.

Pregledom su bila obuhvaćena dva slučaja AML-a u bolesnika liječenih ispitivanim lijekom bb1111, u kliničkom ispitivanju bolesti srpastih stanica. Iako nije bilo zabilježenih slučajeva AML-a prilikom primjene lijeka Zynteglo, oba lijeka upotrebljavaju isti virusni vektor i postojala je zabrinutost da vektor može biti povezan s razvojem raka (insercijska onkogeneza).

U pregledu Odbora EMA-e za procjenu rizika u području farmakovigilancije (PRAC), uz potporu stručnjaka Odbora za naprednu terapiju (CAT), utvrđeno je da virusni vektor vjerojatno nije uzrok tome. U jednog bolesnika virusni vektor nije bio prisutan u stanicama raka, a u drugog bolesnika bio je prisutan na mjestu (VAMP4) za koje se čini da nije uključeno u razvoj raka.

Nakon pregleda svih dokaza bilo je jasno da su uvjerljivija objašnjenja za slučajeve AML-a uključivala kondicionirajuću terapiju koju su bolesnici primali kako bi se uklonile stanice koštane srži i ublažio visok rizik od raka krvi u osoba s bolešću srpastih stanica.

Bolesnicima koji primaju lijek Zynteglo za beta-talasemiju također je potrebna kondicionirajuća terapija kako bi se uklonile stanice koštane srži prije primjene lijeka Zynteglo. Zdravstveni radnici stoga trebaju izričito obavijestiti bolesnike koji primaju lijek Zynteglo o povećanom riziku od raka krvi povezanom s lijekovima koji se primjenjuju u kondicionirajućim terapijama.

CHMP se usuglasio oko ažuriranja preporuka za praćenje bolesnika. Zdravstveni radnici trebaju sada **najmanje** jedanput godišnje tijekom 15 godina provjeravati svoje bolesnike kako bi vidjeli ima li znakova raka krvi.¹

CHMP je zaključio da koristi od lijeka Zynteglo i dalje nadmašuju s njim povezane rizike. Kao i za sve lijekove, EMA će pratiti sve nove podatke o sigurnosti primjene te prema potrebi ažurirati savjete bolesnicima i zdravstvenim radnicima.

¹ Prethodna preporuka bila je da zdravstveni radnici jednom godišnje provjere ima li znakova raka.



Informacije za bolesnike

- Tijekom pregleda EMA-e nisu pronađeni dokazi da virusni vektor u lijeku Zynteglo uzrokuje rak krvi pod nazivom akutna mijeloična leukemija (AML).
- Zynteglo će se i dalje primjenjivati kao i prije. Međutim, vaš zdravstveni radnik može vas pozvati na probir na rak više puta godišnje.
- Ako imate bilo kakvih pitanja o terapiji, obratite se svojem zdravstvenom radniku.

Informacije za zdravstvene radnike

- U okviru pregleda koji je provela EMA zaključeno je da nema dokaza da virusni vektor u lijeku Zynteglo uzrokuje AML.
- Iako su dva bolesnika koja su primila isti virusni vektor u drugom lijeku imala AML, postoje objašnjenja koja su uvjerljivija od insercijske onkogeneze, uključujući kondicionirajuću terapiju koju su bolesnici primali i veći rizik od hematološkog raka u osoba s bolešću srpastih stanica.
- Zdravstveni radnici trebaju izričito obavijestiti bolesnike koji primaju lijek Zynteglo o povećanom riziku od raka krvi povezanom s lijekovima koji se primjenjuju u kondicionirajućim terapijama.
- Zdravstveni radnici trebaju nastaviti s praćenjem bolesnika radi eventualne pojave raka. EMA je ažurirala svoju preporuku za probir na rak tako da se zahtjev mijenja s jedanput godišnje na **najmanje** jedanput godišnje.

Više o lijeku

Zynteglo se primjenjuje za jednokratno liječenje poremećaja krvi pod nazivom beta-talasemija u bolesnika u dobi od 12 godina i starijih kojima su potrebne redovite transfuzije krvi.

Da bi se proizveo lijek Zynteglo, matične stanice uzete iz bolesnikove krvi modificiraju se virusom koji prenosi funkcionalne kopije gena za beta-globin u stanice. Kada se tako modificirane stanice vrate bolesniku, krvotokom se prenose u koštanu srž gdje počinju proizvoditi zdrave crvene krvne stanice koje proizvode beta-globin. Očekuje se da će učinci lijeka Zynteglo trajati tijekom cijelog bolesnikova života.

Lijek Zynteglo dobio je uvjetno odobrenje za stavljanje lijeka u promet u svibnju 2019. Uvjetno odobrenje znači da se očekuju dodatni podatci o lijeku koje će tvrtka dostaviti. EMA redovito procjenjuje nove informacije koje postanu dostupne.

Više o postupku

Pregled lijeka Zynteglo pokrenut je 18. veljače 2021. na zahtjev Europske komisije, u skladu s [člankom 20. Uredbe \(EZ\) br. 726/2004.](#)

Pregled je prvo proveo Odbor za procjenu rizika u području farmakovigilancije (PRAC), odbor nadležan za ocjenu sigurnosnih pitanja koja se odnose na lijekove za humanu uporabu, koji je blisko surađivao sa stručnjacima iz [Odbora za naprednu terapiju \(CAT\).](#)

Preporuke PRAC-a poslane su CAT-u, koji je 16. srpnja 2021. usvojio nacrt mišljenja u skladu s preporukama PRAC-a, a zatim su poslane Odboru za lijekove za humanu uporabu (CHMP), nadležnom za pitanja koja se odnose na lijekove za humanu uporabu. CHMP je 22. srpnja 2021. usvojio konačno mišljenje Agencije uzimajući u obzir nacrt mišljenja CAT-a. Mišljenje CHMP-a proslijeđeno je Europskoj komisiji koja je 16. rujna 2021. donijela konačnu, pravno obvezujuću odluku koja se primjenjuje u svim državama članicama EU-a.

Lijek koji više nije odobren