



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/185914/2025
EMA/H/C/005907

Aucatzyl (*obekabtagén autoleucel*)

Az Aucatzyl-ra vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

Milyen típusú gyógyszer az Aucatzyl és milyen betegségek esetén alkalmazható?

Az Aucatzyl a B-sejteket (a fehérvérsejtek egy típusa) érintő vérképzőszervi daganatok egy típusának, az úgynevezett prekursor B-sejtes akut limfoblasztos leukémiának (ALL) a kezelésére alkalmazott gyógyszer. A gyógyszert olyan 26 éves és idősebb felnőtteknél alkalmazzák, akiknek a daganata nem reagált a korábbi kezelésre, vagy azt követően kiújult.

Az Aucatzyl hatóanyaga az obekabtagén autoleucel (amely genetikailag módosított fehérvérsejtekből áll).

Hogyan kell alkalmazni az Aucatzyl-t?

Az Aucatzyl-t minősített ellátóhelyen, a vérképzőszervi daganatok kezelésében tapasztalt, és a gyógyszer beadásával és a betegek ellátásával kapcsolatos oktatásban részesült orvosnak kell beadnia.

Az Aucatzyl-t a beteg vérből kivont és laboratóriumban genetikailag módosított saját T-sejtjeiből (a fehérvérsejtek egy típusa) állítják elő. A gyógyszer csak annak a betegnek adható, akitől a gyógyszer előállításához szükséges sejtek származnak. Az Aucatzyl alkalmazása előtt a betegnek rövid időtartamú kemoterápiát kell adni a fehérvérsejtek elpusztítása céljából. Az Aucatzyl-t két intravénás infúzió formájában, a kezelés 1. és 10. napján kell beadni. Közvetlenül az infúzió előtt a betegnek paracetamolt és antihisztamint kell adni az infúzióra adott reakciók kockázatának csökkentésére.

Sürgősségi felszerelésnek és a tocilizumab nevű gyógyszernek, illetve annak hiányában, megfelelő alternatívának kell rendelkezésre állnia arra az esetre, ha a betegnél egy súlyos mellékhatás, az úgynevezett citokinfelszabadulási szindróma (CRS), egy potenciálisan életveszélyes állapot jelentkezik, amely lázat, hányást, légszomjat, fájdalmat és alacsony vérnyomást okozhat (a további információkat lásd alább).

A mellékhatások észlelése érdekében a betegeket az első infúzió beadása után 14 napig szoros megfigyelés alatt kell tartani, és a kezelés után legalább 4 hétig ajánlott szakellátást végző kórház közelében tartózkodniuk.

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



Az Aucatzyl alkalmazásával kapcsolatban további információért olvassa el a betegtájékoztatót, illetve kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

Hogyan fejti ki hatását az Aucatzyl?

Az Aucatzyl a beteg saját T-sejtjeit tartalmazza, melyeket laboratóriumban genetikailag módosítottak, hogy egy kiméra antigénreceptor (CAR) nevű fehérjét állítsanak elő. A CAR a daganatos B-sejtek felületén egy CD19 nevű másik fehérjéhez kapcsolódik.

Amikor az Aucatzyl-t beadják a betegnek, a módosított T-sejtek hozzákapcsolódnak a daganatos sejtekhez és elpusztítják azokat, így segítve elő, hogy a daganat eltűnjön a szervezetből.

Milyen előnyei voltak az Aucatzyl alkalmazásának a vizsgálatok során?

A fő vizsgálatban 94, prekursor B-sejtes akut limfoblasztos leukémiában szenvedő olyan felnőtt kapott Aucatzyl-infúziót, akiknek a daganata nem reagált a korábbi kezelésre, vagy azt követően kiújult. Ebben a vizsgálatban az Aucatzyl-t nem hasonlították össze más kezeléssel vagy placebóval (hatóanyag nélküli kezelés).

Az Aucatzyl-t kapott betegek körülbelül 77%-a (94-ből 72) reagált általánosságban, ami azt jelenti, hogy nem voltak kimutathatók náluk daganatos betegségekre utaló jelek, de a vörsejtszám nem feltétlenül tért vissza a normális értékre, és az összes beteg 55%-a (94-ből 52) reagált úgy, hogy vérképe normalizálódott.

Milyen kockázatokkal jár az Aucatzyl alkalmazása?

Az Aucatzyl alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Az Aucatzyl leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a CRS, a fertőzések, a fájdalom, beleértve a váz- és izomrendszeri fájdalmat (izom- és csontfájdalom), a láz, a hányinger, a hasmenés, a fejfájás, a fáradtság és a vérzés.

Egyes mellékhatások súlyosak lehetnek. A leggyakoribbak (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a fertőzések és a lázas neutropénia (lázval járó alacsony fehérvérsejtszám). Az egyéb súlyos mellékhatások (10 beteg közül legfeljebb 1-nél jelentkezhet) közé tartozik az ICANS (immuneffektorsejttel összefüggő neurotoxicitás szindróma) neurológiai rendellenesség, a CRS, a szepszis (baktériumok és toxinjaik a vérben keringenek, ami szervkárosodáshoz vezet) és a láz.

Miért engedélyezték az Aucatzyl forgalomba hozatalát az EU-ban?

A fő vizsgálat igazolta, hogy az Aucatzyl hatásos a prekursor B-sejtes akut limfoblasztos leukémia kezelésében olyan felnőtteknél, akiknek a daganata nem reagált a korábbi kezelésre, vagy azt követően kiújult.

A vizsgálatban az Aucatzyl-t nem hasonlították össze más daganatellenes gyógyszerrel vagy placebóval. Az értékelés idején a prekursor B-sejtes akut limfoblasztos leukémiában szenvedő, 26 évesnél idősebb betegek számára csak korlátozott kezelési lehetőségek álltak rendelkezésre. Úgy vélték ezért, hogy a gyógyszer ebben a betegcsoportban kielégítetlen egészségügyi szükségletet elégít ki.

Biztonságossági szempontból az Aucatzyl jelentős mellékhatásokkal jár, amelyek hasonlóak az azonos osztályba tartozó más kezelések esetében megfigyeltekhez, és a betegség súlyosságára tekintettel elfogadhatónak tekinthetők. A legfőbb problémát a citokinfelszabadulási szindróma (CRS), a

neurológiai problémák (ICANS), az alacsony fehérvérsejtszám (leukopénia) és a fertőzés jelenti, de ezek a beteg szoros monitorozásával kezelhetők.

Az Aucatzyl-t „feltételes forgalombahozatali engedéllyel” engedélyezték. Ez azt jelenti, hogy a feltételes forgalombahozatali engedélyt a szokásosan előírtaknál kevésbé átfogó adatok alapján adják ki olyan gyógyszerek esetében, amelyek kielégítetlen gyógyszerigényt elégítenek ki. Az Európai Gyógyszerügynökség úgy véli, hogy a gyógyszer korábbi rendelkezésre állásának előnyei meghaladják a gyógyszer alkalmazásával járó kockázatokat addig is, amíg további bizonyítékokra kell várni.

A vállalatnak további adatokat kell szolgáltatnia az Aucatzyl-ről. Be kell nyújtania a gyógyszer hosszú távú biztonságosságára és hatásosságára vonatkozó két vizsgálat eredményeit. Az Ügynökség évente felülvizsgál minden újonnan hozzáférhető információt.

Milyen intézkedések vannak folyamatban az Aucatzyl biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

Az Aucatzyl-t forgalmazó vállalatnak biztosítania kell, hogy az Aucatzyl-t megfelelő szakértelemmel, felszereléssel és képzettséggel rendelkező kórházakban alkalmazzák. A tocilizumabnak vagy megfelelő alternatívájának CRS kialakulásának esetére rendelkezésre kell állnia. A lehetséges mellékhatásokkal, különösen a CRS-sel és az ICANS-sel kapcsolatban a vállalatnak oktatóanyagokat kell biztosítania az egészségügyi szakemberek, illetve figyelmeztető kártyát a betegek számára.

Az Aucatzyl biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések szintén feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

Az Aucatzyl alkalmazásával kapcsolatban felmerülő információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan figyelemmel kísérik. Az Aucatzyl alkalmazásával összefüggésben jelentett feltételezett mellékhatásokat gondosan értékelik, és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

Az Aucatzyl-lel kapcsolatos egyéb információ

Az Aucatzyl-lel kapcsolatban további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/aucatzyl.