



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/577381/2023
EMA/H/C/005763

Casgevy (exagamglogén autotemcel)

A Casgevy-re vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

Milyen típusú gyógyszer a Casgevy és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Casgevy egy olyan gyógyszer, amelyet 12 éves és idősebb betegeknél a béta-talasszémia és a sarlósejtes betegség néven ismert vérképzőszervi rendellenességek kezelésére alkalmaznak.

Béta-talasszémia esetén a Casgevy-t olyan betegeknél alkalmazzák, akiknek rendszeres vérátömlesztésre van szükségük. Az ilyen betegségben szenvedő betegek szervezete nem termel elég hemoglobint, azaz a vörösvérsejtekben található fehérjét, amely az oxigént szállítja a szervezetben. Emiatt ezeknek a betegeknél alacsony a vörösvérsejtszáma, és gyakori vérátömlesztésre van szükségük.

Sarlósejtes vérszegénység esetén a Casgevy-t súlyos betegségben és visszatérő fájdalmas krízisekben szenvedő betegeknél alkalmazzák. Az ebben a betegségben szenvedő betegeknél a hemoglobin kóros formája alakul ki, amelyben a vörösvérsejtek rugalmatlanná és ragadóssá válnak, és formájuk korong alakúról sarló alakúra változik. Ezek a sejtek képesek gátolni a véráramlást, fájdalmas kríziseket okozva a mellkasban, a hasban és a test más részein.

Mivel a béta-thalasszémia és a sarlósejtes betegség „ritkának” minősül, ezért a Casgevy-t „ritka betegségek elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található ([béta-talasszémia](#): 2019. október 17.; [sarlósejtes betegség](#): 2020. január 9.)

A Casgevy hatóanyagát a beteg saját véréből vett, genetikailag módosított őssejtek (olyan sejtek, amelyek vérsejttekké képesek fejlődni) alkotják. A gyógyszert akkor alkalmazzák, amikor az őssejt kezelések megfelelőek és nem áll rendelkezésre megfelelő őssejt-donor.

Hogyan kell alkalmazni a Casgevy-t?

A Casgevy csak receptre kapható, és a gyógyszer beadásában képzett, az őssejt-transzplantációban, valamint a hemoglobint érintő vérproblémák kezelésében jártas orvosnak kell beadnia egy engedélyezett központban.

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



A Casgevy-t minden egyes beteg esetében egyedileg állítják elő a beteg saját véréből származó őssejtek felhasználásával, és kizárólag annak a betegnek adható, akinek készült. A gyógyszert egyszeri vénás infúzióban kell beadni, és az adag a beteg testtömegétől függ.

A Casgevy alkalmazása előtt a beteg kondicionáló kemoterápiában részesül annak érdekében, hogy csontvelőjét megtisztítsák a sejtektől.

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

Hogyan fejti ki hatását a Casgevy?

A Casgevy előállításához az őssejteket edzik (a CRISPR/Cas9 technológia segítségével), hogy több magzati hemoglobint állítsanak elő, egy olyan típusú hemoglobint, amely főként a méhben lévő magzatokban található, de kis mennyiségben felnőtteknél is jelen van. Mivel a magzati hemoglobin ellensúlyozhatja a normál felnőtt hemoglobin hiányát, a módosított őssejtek a betegekbe való injekciózaskor növelhetik a vörösvérsejtek szintjét a béta-thalasszémiában szenvedő betegeknél, és megelőzhetik a sarlósejtes betegségben szenvedő betegeknél a fájdalmas kríziseket.

Milyen előnyei voltak a Casgevy alkalmazásának a vizsgálatok során?

A Casgevy hatásai két, még folyamatban lévő vizsgálat időközi eredményein alapulnak. A vizsgálatok nem hasonlították össze a Casgevy-t másik gyógyszerrel vagy placebóval.

Az egyik, 12 és 35 év közötti, thalasszémiában szenvedő betegekkel végzett vizsgálatban, amelyben a gyógyszert kondicionáló kemoterápiás kezelést követően alkalmazták, 42 beteg közül 39-nél a hemoglobinszint legalább 9 g/dl felett maradt anélkül, hogy legalább 12 egymást követő hónapon keresztül vérátömlesztésre lett volna szükség.

A Casgevy hatásosnak bizonyult a fájdalmas sarlósejtes krízisek megelőzésében is. Egy súlyos sarlósejtes betegségben szenvedő, 12 és 35 év közötti betegekkel végzett vizsgálatban 29 beteg közül 28-nál legalább 12 egymást követő hónapban nem jelentkezett fájdalmas krízis, ha a kondicionáló kemoterápiát követően Casgevy-val kezelték. Egyik beteg (29-ből 29) sem igényelt kórházi kezelést fájdalmas krízisek esetén legalább 12 egymást követő hónapban.

Milyen kockázatokkal jár a Casgevy alkalmazása?

A Casgevy alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

A Casgevy leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a fejfájás, a hányinger, valamint az izom- és csontfájdalom.

A kezelőorvosoknak mérlegelniük kell, hogy a betegek megkaphatják-e a Casgevy alkalmazásához szükséges előzetes kezeléseket.

Miért engedélyezték a Casgevy forgalomba hozatalát az EU-ban?

A transzfúziót igénylő béta-talasszémia és a sarlósejt-betegség olyan súlyos betegségek, amelyek esetében a kezelési lehetőségek korlátozottak. Bár a Casgevy-val végzett vizsgálatok kisméretűek voltak, és a tervezésükkel kapcsolatban bizonytalanságok merültek fel, azt mutatták, hogy az egyszeri kezelés csökkentheti a vörösvérsejt-transzfúzió szükségességét béta-thalasszémiában szenvedő

betegeknél, valamint csökkentheti a sarlósejtes betegségben szenvedő betegeknél fellépő fájdalmas krízisek számát.

A biztonságosságot illetően a kezelés általában jól tolerálható volt, és a mellékhatások főként a kondicionáló kemoterápia miatt jelentkeztek. Elméletileg fennállhat a genetikai anyag nem szándékos változásai által okozott rákos megbetegedések kockázata, bár eddig nem tapasztaltak ilyen eseteket. A vérzés potenciális kockázata is fennáll, mivel a gyógyszer a vérlemezkék (a véralvadást elősegítő összetevők) számának csökkenését okozhatja. Intézkedéseket hoztak az ilyen események nyomon követésére egy 15 éves nyilvántartás-alapú vizsgálat révén.

Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a Casgevy alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer alkalmazása az EU-ban engedélyezhető. A Casgevy-t „feltételes forgalombahozatali engedéllyel” engedélyezték. Ez azt jelenti, hogy a vállalatnak az engedélyezést követően további bizonyítékokat kell benyújtania.

A feltételes forgalombahozatali engedélyt a szokásosan előírtaknál kevésbé átfogó adatok alapján adják ki olyan készítmények esetében, amelyek egyes súlyos betegségek kezelésére vonatkozóan kielégítetlen gyógyszerigényt elégítenek ki, és amennyiben a rendelkezésre állás előnyei meghaladják a gyógyszer alkalmazásával járó kockázatokat addig is, amíg további bizonyítékokra kell várni. Az Európai Gyógyszerügynökség évente felülvizsgál minden újonnan hozzáférhető információt mindaddig, amíg az adatok átfogóvá nem válnak, és szükség esetén aktualizálja ezt az áttekintést.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Casgevy biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Casgevy-t forgalmazó vállalat be fogja nyújtani a gyógyszer hatásosságának és biztonságosságának további értékelésére irányuló, folyamatban lévő vizsgálatok eredményeit. A vállalat oktatóanyagokat fog biztosítani a gyógyszert várhatóan alkalmazó egészségügyi szakemberek számára a biztonságosságról, beleértve a rák potenciális kockázatára és a beteg vérlemezkeszáma ellenőrzésének szükségességére, valamint a gyógyszer alkalmazásának módjára vonatkozó információkat. A betegek is kapnak egy útmutatót és egy kártyát, amelyet maguknál kell tartaniuk.

A Casgevy 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.

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

A Casgevy-vel kapcsolatos egyéb információ

A Casgevy-vel kapcsolatban további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/casgevy