



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zemcelpro (*dorokubicel / nem expandált CD34- sejtek*)

A Zemcelpro-ra vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

Milyen típusú gyógyszer az Zemcelpro és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Zemcelpro egy őssejteket tartalmazó gyógyszer, amelyet olyan, vérképzőszervi rosszindulatú betegségekben (vérrákban) szenvedő felnőttek kezelésére alkalmaznak, akiknek allogén vérképző őssejtek átültetésére (allo-HSCT) van szükségük, és akik számára más típusú alkalmas donorsejtek nem állnak rendelkezésre.

Az allo-HSCT egy olyan eljárás, amelynek során a beteg csontvelőjéből (a nagy csontok belsejében a vörsejteket termelő, szivacsos szövetből) eltávolítják a sejteket, majd ezeket egy választott donortól származó sejtekkel pótolják; az átültetett sejtek felszaporodnak, és egészséges, specializálódott vér- és immunsejttekké fejlődnek. A Zemcelpro-t daganatellenes gyógyszerekkel végzett kondicionáló (előkészítő) kezelés után alkalmazzák a sejtek csontvelőből történő eltávolítása céljából.

Mivel a HSCT ritkán végzett eljárás, a Zemcelpro-t 2020. április 22-én „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették a HSCT-t igénylő betegek számára. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről az EMA [honlapján](#) található.

A Zemcelpro-t célzottan az adott beteg számára állítják elő. Adományozott köldökvérsejtéből származó őssejtek két típusát tartalmazza: dorokubicel (expandált CD34+ sejtek; az expandált azt jelenti, hogy a sejteket laboratóriumban tenyésztették és szaporították) és nem expandált CD34- sejtek.

Hogyan kell alkalmazni a Zemcelpro-t?

A Zemcelpro csak receptre kapható. HSCT-re is szakosodott, minősített transzplantációs központban, a vérrákok kezelésében tapasztalattal rendelkező szakorvosnak kell alkalmaznia.

A Zemcelpro-t egyszer, egyszeri adagban, vénás infúzióval kell beadni. A Zemcelpro egyszeri adagja 1–4 darab, dorokubicelt tartalmazó infúziós zsákból, valamint 4 darab, nem expandált CD34- sejteket tartalmazó zsákból áll.

A Zemcelpro-kezelés előtt és után a betegek más gyógyszereket kapnak az infúzióval összefüggő reakciók kockázatának csökkentése és az átültetés szövődményeinek megelőzése érdekében.

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 Zemcelpro alkalmazásával kapcsolatban további információért olvassa el a betegtájékoztatót, illetve kérdezze meg kezelőorvosát.

Hogyan fejt ki hatását a Zemcelpro?

A Zemcelpro-t olyan, vérrákos betegek kezelésére alkalmazzák, akiknek allo-HSCT-re van szükségük, és akik számára más típusú alkalmas donorsejtek nem állnak rendelkezésre.

Ezeknél a betegeknél köldökzsínórvérsejtek alkalmazhatók; a betegek egy részénél azonban nem áll rendelkezésre megfelelő köldökzsínórvér, mert az adományozott köldökzsínórvérben alacsony az őssejtek száma. A köldökzsínórvérben lévő őssejtek alacsony száma késleltetheti a megtapadást (amikor az átültetett sejtek növekedni kezdenek, és egészséges vérsejteket termelnek).

A Zemcelpro-ban a köldökzsínórból nyert őssejtek egy részét laboratóriumban tenyésztik és szaporítják, majd ugyanabból a köldökzsínórvérből származó, nem expandált sejtekkel együtt adják be. A expandált CD34+ sejtek főként az egészséges vérsejtek növekedését segítik elő, míg a nem expandált CD34- sejtek ezt támogatják, és segítik az esetleg megmaradt daganatos sejtek eltávolítását is. Az infúzió beadása után a Zemcelpro-ból származó őssejtek a csontvelőbe vándorolnak, ahol felszaporodnak, érnek, és egészséges, specializálódott vér- és immunsejtekké fejlődnek.

Milyen előnyei voltak a Zemcelpro alkalmazásának a vizsgálatok során?

A Zemcelpro előnyeit két fő vizsgálatban igazolták, amelyekben 25, nagy kockázatú leukémiában vagy mielodispláziában (a vérképzőszervi daganatok bizonyos típusaiban) szenvedő beteg vett részt, akiknek allo-HSCT-re volt szükségük, és akik számára más típusú megfelelő donorsejtek nem álltak rendelkezésre. A jelenleg zajló vizsgálatokban a Zemcelpro-t nem hasonlították össze más kezeléssel.

A vizsgálatok azt mutatták, hogy a Zemcelpro beadása után a betegeknél átlagosan 20 nap volt a neutrofil sejtek megtapadásának eléréséig eltelt idő (a megtapadás azt jelenti, hogy az átültetett sejtek elkezdnek fejlődni és az egyik fehérvérsejttípust, a neutrofil sejteket előállítani). A 42. napig a 25 beteg közül 21-nél (84%) érték el a neutrofil sejtek megtapadását.

Ezenfelül a betegeknél a Zemcelpro beadása után átlagosan 40 nappal alakult ki vérlemezke-megtapadás (azt jelenti, hogy az átültetett sejtek elkezdnek fejlődni és a vérlemezkeket előállítani); a 100. napig a 25 beteg közül 17-nél (68%) érték el vérlemezke-megtapadást.

A fenti eredmények azt jelzik, hogy az átültetés sikeres volt, és a csontvelőben megkezdődött az új vérsejtek termelődése.

Milyen kockázatokkal jár a Zemcelpro alkalmazása?

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

A Zemcelpro leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a limfopénia (a fehérvérsejtek egy típusának, a limfocitáknak az alacsony száma), a fertőzések, a vérszegénység (a vörösvértestek alacsony száma), a neutropénia (a neutrofil sejtek alacsony száma), a trombocitopénia (alacsony vérlemezkeszám), a leukopénia (alacsony fehérvérsejtszám), a hipogammaglobulinémia (az antitestek alacsony szintje a vérben), a lázas neutropénia (a neutrofil sejtek alacsony száma lázzal), a magas vérnyomás, a megtapadás-szindróma (a HSCT szövődménye, amely olyan tünetekkel jár, mint a láz, a kiütés és más gyulladásos reakciók) és a tüdőgyulladás (tüdőfertőzés). A betegek 60%-ánál jelentettek akut graft-versus-host betegséget (GvHD, amikor a donorsejtek röviddel az átültetés után

megtámadják a szervezetet), a betegek 16%-ánál pedig krónikus GvHD-t (amely általában az akut GvHD-nél később, az átültetés után néhány héten vagy hónapon belül alakul ki).

Halálhoz vezető mellékhatások a Zemcelpro-val kezelt betegek körülbelül 8%-ánál fordultak elő, és ezek közé tartoztak a fertőzések, az akut GvHD, a pulmonális alveoláris vérzés (olyan állapot, amikor a tüdő léghólyagocskáiban alakul ki vérzés), a pneumonitisz (a tüdő szöveteinek gyulladása, mint például idiopátiás tüdőgyulladás-szindróma és kriptogén szervülő tüdőgyulladás), valamint a pulmonális hipertónia (magas vérnyomás a tüdőt ellátó erekben).

Miért engedélyezték a Zemcelpro forgalomba hozatalát az EU-ban?

Az engedélyezés időpontjában klinikai szempontból nagyon nehéz volt azoknak a vérképzőszervi daganatokban szenvedő betegeknek a kezelése, akiknek HSCT-re volt szükségük, és akik számára nem állt rendelkezésre más típusú megfelelő donorsejt. Ezeknek a betegeknek semmilyen más kezelési lehetőségük nem volt, és minimális volt a felépülésük esélye.

A folyamatban lévő vizsgálatokban részt vevő, kisszámú beteg eredményei alapján a Zemcelpro-val végzett kezelést követően gyors, határozott és tartós volt a neutrofil sejtek és vérlemezkék számának a rendeződése, ami azt jelzi, hogy a Zemcelpro előnyös lehet az ilyen betegek számára. A Zemcelpro biztonságosságát elfogadhatónak tartották ezeknél a betegeknél, akik számára az engedélyezés időpontjában nem volt más kezelési lehetőség.

A Zemcelpro alkalmazását az EU-ban feltételesen engedélyezték. Ez azt jelenti, hogy a feltételes forgalombahozatali engedélyt a szokásosan előírtaknál kevésbé átfogó adatok alapján adják ki olyan gyógyszerek esetében, amelyek egyes súlyos betegségek kezelésére vonatkozóan 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 benyújtania a Zemcelpro-ról. A vállalatnak be kell nyújtania a Zemcelpro-val végzett két folyamatban lévő fő vizsgálat és két további vizsgálat végleges eredményeit, valamint egy másik, a Zemcelpro-val kezelt betegek nyilvántartásán alapuló vizsgálat adatait. Az Ügynökség évente felülvizsgál minden újonnan hozzáférhető információt.

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

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

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

A Zemcelpro-val kapcsolatos egyéb információ

A Zemcelpro-val kapcsolatban további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zemcelpro