



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2021. szeptember 16.
EMA/546292/2021

A CHMP jóváhagyta azt a felülvizsgálatot, amely nem talált kapcsolatot a Zynteglo-ban található vírusvektor és a vérrák között

2021. július 22-én az EMA emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottsága (CHMP) jóváhagyta egy felülvizsgálat eredményeit, amely arra a következtetésre jutott, hogy nincs bizonyíték arra, hogy a Zynteglo akut mieloid leukémiának (AML) nevezett vérrákot okoz.

A Zynteglo, a béta-talasszémia vérbetegség kezelésére szolgáló génterápia egy vírusvektor (vagy módosított vírus) segítségével egy működő gént juttat a beteg vérésejtjeibe.

Két AML-esetet vizsgáltak felül, amelyekben a betegeket egy sarlósejtes anémiával kapcsolatos klinikai vizsgálatban vizsgálati gyógyszerrel (bb1111) kezelték. Bár a Zynteglo-val kapcsolatban nem számoltak be AML-ről, mindkét gyógyszer ugyanazt a vírusvektort tartalmazza, és aggály merült fel azzal kapcsolatban, hogy a vektor szerepet játszhat a rák kialakulásában (inszerciós onkogenezis).

Az EMA biztonsági bizottsága (PRAC) által elvégzett, a fejlett terápiákkal foglalkozó bizottság (CAT) szakértői által támogatott felülvizsgálat megállapította annak valószínűtlenségét, hogy a vírusvektor lenne az ok. Az egyik betegnél a vírusvektor nem volt jelen a rákos sejtekben, a másikon pedig olyan helyen (VAMP4) volt jelen, amely úgy tűnik, hogy nem vesz részt a rák kialakulásában.

Az összes bizonyíték vizsgálatát követően egyértelmű volt, hogy az AML esetekre valószínűbb magyarázat a kondicionáló kezelés, amelyet a betegek a csontvelősejtek eltávolítására kaptak, illetve a vérrák magasabb kockázata sarlósejtes anémiában szenvedő betegeknél.

A béta-talasszémia miatt Zynteglo-kezelésben részesülő betegeknél kondicionáló kezelésre is szükségük van a csontvelősejtek eltávolítására a Zynteglo alkalmazása előtt. Az egészségügyi szakembereknek ezért nyíltan tájékoztatniuk kell a Zynteglo-t kapó betegeket a kondicionáló kezelésben alkalmazott gyógyszerek által okozott vérrák fokozott kockázatáról.

A CHMP elfogadta a betegek monitorozására vonatkozó ajánlások aktualizálását. Az egészségügyi szakembereknek jelenleg 15 éven keresztül évente **legalább** egyszer ellenőrizniük kell betegeiknél a vérrák jeleit.¹

A CHMP megállapította, hogy a Zynteglo alkalmazásának előnyei továbbra is meghaladják a kockázatokat. Mint minden gyógyszer esetében, az EMA figyelemmel fogja kísérni a biztonságosságára

¹ Az előző ajánlás szerint az egészségügyi szakembereknek évente egyszer kellett ellenőrizniük a rák jeleit.



vonatkozó új adatokat, és szükség esetén frissíti a betegeknek és egészségügyi szakembereknek szóló tanácsokat.

Tájékoztató a betegek számára

- Az EMA felülvizsgálata nem talált bizonyítékot arra, hogy a Zynteglo-ban található vírusvektor akut mieloid leukémiának (AML) nevezett vérrákot okozna.
- A Zynteglo-t továbbra is a korábbiak szerint alkalmazzák. A kezelését végző egészségügyi szakember azonban évente egynél többször is berendelheti Önt rákszűrésre.
- Ha a kezelésére vonatkozóan kérdései vannak, beszéljen a kezelését végző egészségügyi szakemberrel.

Tájékoztató az egészségügyi szakemberek számára

- Az EMA felülvizsgálata megállapította, hogy nincs bizonyíték arra, hogy a Zynteglo-ban található vírusvektor AML-t okozna.
- Bár két olyan betegnél, akik ugyanazt a vírusvektort egy másik gyógyszerben kapták, AML alakult ki, valószínűsíthetőbb magyarázatok állnak rendelkezésre, mint az inszerciós onkogenezis, beleértve a betegek kondicionáló kezelését és a sarlósejtes anémiában szenvedő betegeknél a hematológiai rák magasabb kockázatát.
- Az egészségügyi szakembereknek nyíltan tájékoztatniuk kell a Zynteglo-t kapó betegeket a kondicionáló kezelésben alkalmazott gyógyszerek által okozott vérrák fokozott kockázatáról.
- Az egészségügyi szakembereknek továbbra is figyelemmel kell kísérniük, hogy nem alakul-e ki rákos megbetegedés a betegeknél. Az EMA frissítette a rákszűrésre vonatkozó ajánlását, és az előírás „évente egyszer” helyett **„legalább évente egyszer”** lett.

További információk a gyógyszerről

A Zynteglo a béta-talasszémiá nevű vérbetegség egyszeri kezelése olyan, 12 éves és idősebb betegeknél, akik rendszeres vérátömlesztésre szorulnak.

A Zynteglo előállításához a beteg véréből vett őssejteket egy vírussal módosítják, amely a béta-globin működő kópiáit a sejtekbe szállítja. Amikor a beteg visszakapja ezeket a módosított sejteket, azok a véráramba kerülve eljutnak a csontvelőhöz, ahol egészséges, béta-globint termelő vörösvérsejteket állítanak elő. A Zynteglo hatása várhatóan a beteg élete végéig fennmarad.

A Zynteglo 2019 májusában feltételes forgalombahozatali engedélyt kapott. A feltételes engedély azt jelenti, hogy a gyógyszerrel kapcsolatban további tudományos bizonyítékok várhatók, amelyeket a vállalat be fog nyújtani. Az EMA rendszeresen felülvizsgálja a rendelkezésre álló új információkat.

További információk az eljárásról

A Zynteglo felülvizsgálata az Európai Bizottság kérelme alapján 2021. február 18-án kezdődött a [726/2004/EK rendelet 20. cikke](#) szerint.

A felülvizsgálatot először a farmakovigilancia-kockázatértékelési bizottság (PRAC), az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek biztonságossági kérdéseinek értékeléséért felelős bizottság végezte, amely szorosan együttműködött a [fejlett terápiákkal foglalkozó bizottság \(CAT\)](#) szakértőivel.

A PRAC ajánlásai továbbításra kerültek a CAT-hoz, amely a PRAC ajánlásaival összhangban 2021. július 16-án véleménytervezetet fogadott el, ezt követően pedig az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottságához (CHMP), amely felelős az emberi felhasználásra szánt gyógyszereket érintő kérdésekben. 2021. július 22-én a CHMP a CAT véleménytervezetének figyelembevételével elfogadta az Ügynökség végleges véleményét. A CHMP véleménye továbbításra került az Európai Bizottsághoz, amely 2021. szeptember 16-án az EU minden tagállamában érvényes, végleges, jogilag kötelező érvényű határozatot adott ki.

A gyógyszer forgalomba hozatali engedélye megszűnt