



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Aucatzyl (*obecabtagene autoleucl*)

Sintesi di Aucatzyl e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Cos'è Aucatzyl e per cosa si usa?

Aucatzyl è un medicinale usato nel trattamento di un tipo di tumore del sangue che colpisce le cellule B (un tipo di globuli bianchi) denominato leucemia linfoblastica acuta (LLA) da precursori delle cellule B. È usato negli adulti di età pari o superiore a 26 anni il cui tumore non ha risposto a un precedente trattamento o è ricomparso dopo tale trattamento.

Aucatzyl contiene il principio attivo obecabtagene autoleucl (costituito da globuli bianchi geneticamente modificati).

Come si usa Aucatzyl?

Aucatzyl deve essere somministrato in un centro di trattamento qualificato da un medico esperto nel trattamento dei tumori del sangue e formato per trattare i pazienti con il medicinale in questione.

Aucatzyl è preparato con le cellule T del paziente (un tipo di globuli bianchi) estratte dal sangue e geneticamente modificate in laboratorio. Il medicinale deve essere somministrato esclusivamente al paziente da cui sono state prese le cellule utilizzate per la sua produzione. Prima della somministrazione di Aucatzyl, il paziente deve sottoporsi a un breve ciclo di chemioterapia finalizzato all'eliminazione dei globuli bianchi. Aucatzyl è somministrato sotto forma di due infusioni (gocce) in vena, il giorno 1 e il giorno 10 del trattamento. Subito prima dell'infusione, al paziente vengono somministrati paracetamolo e un antistaminico per ridurre il rischio di reazioni all'infusione.

Devono essere disponibili attrezzature di emergenza e un medicinale denominato tocilizumab, o un'alternativa adeguata, se non disponibile, nel caso in cui il paziente manifesti un effetto indesiderato grave denominato sindrome da rilascio di citochine (SRC), un'affezione potenzialmente letale che può causare febbre, vomito, respiro affannoso, dolore e pressione sanguigna bassa (vedere maggiori informazioni di seguito).

I pazienti devono essere attentamente monitorati per 14 giorni dopo la prima infusione per rilevare l'eventuale comparsa di effetti indesiderati; inoltre, è consigliabile che soggiornino nei pressi di un ospedale specializzato per almeno 4 settimane dopo il trattamento.

Per maggiori informazioni sull'uso di Aucatzyl, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.

Official address Domenico Scarlatilaan 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



Come agisce Aucatzyl?

Aucatzyl contiene le cellule T del paziente, geneticamente modificate in laboratorio per produrre una proteina denominata recettore chimerico dell'antigene (CAR). Il CAR può legarsi a un'altra proteina presente sulla superficie delle cellule B tumorali, denominata CD19.

Quando Aucatzyl viene somministrato al paziente, i linfociti T modificati si legano alle cellule tumorali e le distruggono, contribuendo in tal modo all'eliminazione del cancro dall'organismo.

Quali benefici di Aucatzyl sono stati evidenziati negli studi?

Nello studio principale, 94 adulti affetti da LLA da precursori delle cellule B il cui tumore non aveva risposto a un precedente trattamento o si era ripresentato dopo tale trattamento sono stati sottoposti a infusione con Aucatzyl. In questo studio Aucatzyl non è stato confrontato con un'altra terapia o con un placebo (trattamento fittizio).

Tra i pazienti trattati con Aucatzyl, è stata osservata una risposta complessiva nel 77 % (72 su 94) dei casi circa, ossia non presentavano segni di cancro, sebbene la conta ematica non fosse ancora tornata ai valori normali; inoltre, il 55 % di tutti i pazienti (52 su 94) ha mostrato una risposta con normalizzazione della conta ematica.

Quali sono i rischi associati a Aucatzyl?

Per l'elenco completo delle limitazioni e degli effetti indesiderati rilevati con Aucatzyl, vedere il foglio illustrativo.

Gli effetti indesiderati più comuni di Aucatzyl (che possono riguardare più di 1 persona su 10) comprendono CRS, infezioni, dolore, compreso dolore muscoloscheletrico (muscolare e osseo), febbre, nausea, diarrea, mal di testa, stanchezza e sanguinamento.

Alcuni effetti indesiderati possono essere gravi. I più frequenti (che possono riguardare più di 1 persona su 10) comprendono infezioni e neutropenia febbrile (bassi livelli di globuli bianchi con febbre). Altri effetti indesiderati gravi (che possono riguardare fino a 1 persona su 10) comprendono un disturbo neurologico denominato ICANS (sindrome di neurotossicità associata a cellule effettrici immunitarie), CRS, sepsi (in cui i batteri e le loro tossine circolano nel sangue causando danni agli organi) e febbre.

Perché Aucatzyl è autorizzato nell'UE?

Lo studio principale ha mostrato che Aucatzyl è efficace nel trattamento della LLA da precursori delle cellule B in adulti nei quali il tumore non aveva risposto a un precedente trattamento o era ricomparso dopo la terapia.

Lo studio non ha messo a confronto Aucatzyl e un altro medicinale antitumorale o con un placebo. Al momento della valutazione, le opzioni terapeutiche disponibili per i pazienti affetti da LLA da precursori delle cellule B di età superiore ai 26 anni erano limitate. Pertanto, si è ritenuto che il medicinale rispondesse a un'esigenza medica non soddisfatta in questa categoria di pazienti.

In termini di sicurezza, Aucatzyl ha alcuni effetti indesiderati importanti, simili a quelli osservati con altri trattamenti appartenenti alla stessa classe, e considerati tollerabili data la gravità della malattia. I problemi principali sono la sindrome da rilascio di citochine (CRS), i problemi neurologici (ICANS), la bassa conta di globuli bianchi (leucopenia) e l'infezione, che tuttavia possono essere gestiti monitorando attentamente il paziente.

Aucatzyl ha ottenuto un'autorizzazione subordinata a condizioni. Questo significa che è stato autorizzato sulla base di dati meno esaustivi di quelli normalmente necessari, poiché risponde a un'esigenza medica non soddisfatta. L'Agenzia europea per i medicinali ritiene che la disponibilità in tempi più rapidi del medicinale presenti benefici superiori ai rischi associati all'uso che ne verrà fatto in attesa di ulteriori prove.

La ditta deve fornire ulteriori dati su Aucatzyl. Deve presentare i risultati di due studi sulla sicurezza e sull'efficacia a lungo termine del medicinale. Ogni anno l'Agenzia esaminerà le nuove informazioni disponibili.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Aucatzyl?

La ditta che commercializza Aucatzyl deve garantire che gli ospedali in cui viene somministrato il medicinale dispongano di competenze, strutture e formazione adeguate. Deve essere disponibile tocilizumab o un'alternativa adeguata nel caso in cui i pazienti sviluppino una CRS. La ditta deve fornire materiale educativo per gli operatori sanitari e una scheda di allerta per i pazienti con informazioni sui possibili effetti indesiderati, in particolare CRS e ICANS.

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Aucatzyl sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate anche nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Aucatzyl sono costantemente monitorati. I presunti effetti indesiderati riportati con Aucatzyl sono valutati attentamente e qualsiasi azione necessaria alla salvaguardia dei pazienti è intrapresa.

Altre informazioni su Aucatzyl

Ulteriori informazioni su Aucatzyl sono disponibili sul sito web dell'Agenzia:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/aucatzyl.