



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zemcelpro (*dorocubicel / cellule CD34- non espanse*)

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

Cos'è Zemcelpro e per cosa si usa?

Zemcelpro è un medicinale a base di cellule staminali usato per il trattamento di pazienti adulti affetti da tumori maligni ematologici (tumori delle cellule del sangue) che necessitano di un trapianto allogenico di cellule staminali ematopoietiche (allo-HSCT) e per i quali non è disponibile alcun altro tipo di cellule da donatore idonee.

L'allo-HSCT è una procedura in cui dal midollo osseo del paziente (tessuto spugnoso all'interno delle grandi ossa in cui vengono prodotte le cellule del sangue) vengono eliminate le cellule, che vengono poi sostituite da cellule di un donatore compatibile; le cellule trapiantate si moltiplicano e si trasformano in cellule ematiche e cellule immunitarie specializzate sane. Zemcelpro viene somministrato dopo che i pazienti sono stati sottoposti a un trattamento di condizionamento (preparatorio) con medicinali antitumorali allo scopo di eliminare le cellule dal midollo osseo.

L'HSCT è una procedura rara e Zemcelpro è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) per l'uso in pazienti che necessitano di un HSCT il 22 aprile 2020. Ulteriori informazioni sulla qualifica di medicinale orfano sono disponibili sul [sito web](#) dell'EMA.

Zemcelpro è prodotto specificamente per il singolo paziente. Contiene due tipi di cellule staminali ottenute dal sangue del cordone ombelicale donato: dorocubicel (cellule CD34+ espanse, laddove espanse significa che le cellule sono state coltivate e moltiplicate in laboratorio) e cellule CD34- non espanse.

Come si usa Zemcelpro?

Zemcelpro può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica. Deve essere somministrato presso un centro trapianti qualificato con esperienza in materia di HSCT da un medico esperto nel trattamento di tumori maligni ematologici.

Zemcelpro è somministrato una sola volta in dose singola mediante infusione (flebo) in vena. Una dose singola di Zemcelpro è costituita da 1-4 sacche per infusione contenenti dorocubicel e 4 sacche contenenti cellule CD34- non espanse.

Prima e dopo il trattamento con Zemcelpro, ai pazienti sono somministrati altri medicinali per ridurre il rischio di reazioni correlate all'infusione e per prevenire complicanze da trapianto.

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



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

Come agisce Zemcelpro?

Zemcelpro è usato per il trattamento di pazienti affetti da tumori del sangue che necessitano di un allo-HSCT e per i quali non è disponibile alcun altro tipo di cellule da donatore idonee.

In questi pazienti possono essere utilizzate cellule ematiche del cordone ombelicale; tuttavia, per alcuni di essi non è disponibile sangue di cordone ombelicale idoneo a causa del basso numero di cellule staminali ivi contenute. Un basso numero di cellule staminali nel sangue di cordone ombelicale può ritardare l'attecchimento (la fase in cui le cellule trapiantate iniziano a crescere e a produrre cellule ematiche sane).

In Zemcelpro alcune cellule staminali del cordone ombelicale vengono coltivate e moltiplicate in laboratorio e vengono quindi somministrate insieme a cellule non espanse provenienti dal sangue dello stesso cordone ombelicale. Le cellule CD34+ espanse promuovono principalmente la crescita di cellule ematiche sane, mentre le cellule CD34- non espanse la favoriscono, oltre a contribuire a eliminare eventuali cellule tumorali rimanenti. Dopo l'infusione, le cellule staminali di Zemcelpro migrano al midollo osseo, dove si moltiplicano, maturano e si sviluppano in cellule ematiche e immunitarie specializzate sane.

Quali benefici di Zemcelpro sono stati evidenziati negli studi?

I benefici di Zemcelpro sono stati dimostrati in due studi principali, condotti su 25 pazienti affetti da leucemia ad alto rischio o da mielodisplasia (tipi di cancro del sangue) che necessitavano di un allo-HSCT e per i quali non era disponibile alcun altro tipo di cellule da donatore idonee. Negli studi, che sono in corso, Zemcelpro non è stato confrontato con alcun altro trattamento.

Gli studi hanno evidenziato che il tempo medio necessario per l'attecchimento dei neutrofili (la fase in cui le cellule trapiantate iniziano a crescere e a produrre neutrofili, un tipo di globuli bianchi) dopo la somministrazione di Zemcelpro è di 20 giorni. Al giorno 42, in 21 pazienti su 25 (84 %) si era avuto attecchimento dei neutrofili.

Inoltre, i pazienti hanno evidenziato attecchimento delle piastrine (la fase in cui le cellule trapiantate iniziano a crescere e a produrre piastrine, componenti che favoriscono la coagulazione del sangue) dopo una media di 40 giorni dalla somministrazione di Zemcelpro; al giorno 100, 17 pazienti su 25 (68 %) hanno evidenziato attecchimento delle piastrine.

Dai risultati di cui sopra si evince che il trapianto ha avuto esito positivo e che nuove cellule ematiche hanno iniziato a essere prodotte nel midollo osseo.

Quali sono i rischi associati a Zemcelpro?

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

Gli effetti indesiderati più comuni di Zemcelpro (che possono riguardare più di 1 persona su 10) comprendono linfopenia (bassi livelli di linfociti, un tipo di globuli bianchi), infezioni, anemia (bassi livelli di globuli rossi), neutropenia (bassi livelli di neutrofili), trombocitopenia (bassi livelli di piastrine), leucopenia (bassi livelli di globuli bianchi), ipogammaglobulinemia (livelli ematici ridotti di anticorpi), neutropenia febbrile (bassi livelli di neutrofili con febbre), ipertensione (pressione sanguigna elevata), sindrome da attecchimento (complicanza dell'HSCT con sintomi quali febbre, eruzione cutanea e altre risposte infiammatorie) e infezione polmonare. Malattia acuta del trapianto contro l'ospite (GvHD, in

cui le cellule del donatore attaccano l'organismo poco dopo un trapianto) è stata segnalata nel 60 % dei pazienti e GvHD cronica (che di solito si sviluppa più tardi della GvHD acuta, entro diverse settimane o mesi dopo un trapianto) è stata segnalata nel 16 % dei pazienti.

Effetti indesiderati con esiti letali si sono verificati in circa l'8 % dei pazienti trattati con Zemcelpro e hanno incluso infezioni, GvHD acuta, emorragia alveolare polmonare (un'affezione in cui si verifica sanguinamento negli alveoli polmonari), polmonite (infiammazione dei polmoni, come sindrome della polmonite idiopatica e polmonite organizzata crittogena) e ipertensione polmonare (elevata pressione sanguigna nei vasi sanguigni che irrorano i polmoni).

Perché Zemcelpro è autorizzato nell'UE?

Al momento dell'autorizzazione il trattamento di pazienti affetti da tumori delle cellule del sangue che necessitavano di un HSCT e per i quali non era disponibile alcun altro tipo di cellule da donatore idonee rappresentava un problema clinico. Questi pazienti non avevano altre opzioni terapeutiche disponibili e avevano una probabilità minima di guarigione.

Sulla base dei risultati di un numero ridotto di pazienti negli studi in corso, il recupero di neutrofili e piastrine dopo il trattamento con Zemcelpro è stato rapido, solido e prolungato, a indicazione del fatto che Zemcelpro può essere utile per questi pazienti. La sicurezza di Zemcelpro è stata considerata accettabile in questi pazienti che, al momento dell'autorizzazione, non avevano altre opzioni di trattamento.

Zemcelpro ha ottenuto un'autorizzazione per l'uso nell'UE 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 Zemcelpro presentando i risultati finali dei due studi principali in corso e di altri due studi con il medicinale nonché fornendo i dati di un ulteriore studio basato su un registro di pazienti trattati con Zemcelpro. Ogni anno l'Agenzia esaminerà le nuove informazioni disponibili.

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

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

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

Altre informazioni su Zemcelpro

Ulteriori informazioni su Zemcelpro sono disponibili sul sito web dell'Agenzia:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zemcelpro