



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Casgevy (eksagamglogeno autotemcelis)

Casgevy apžvalga ir kodėl jis buvo registruotas Europos Sąjungoje (ES)

Kas yra Casgevy ir kam jis vartojamas?

Vaistas Casgevy skiriamas pacientams nuo 12 metų kraujo sutrikimams, vadinamiems beta talasemija ir pjautuvine anemija, gydyti.

Gydant beta talasemiją, Casgevy skiriamas pacientams, kuriems reikia reguliariai perpilti kraują. Šia liga sergančių pacientų organizme gaminama nepakankamai hemoglobino – raudonosios kraujo ląstelės esančio baltymo, kuris išnešioja deguonį po visą organizmą. Todėl raudonųjų kraujo ląstelių koncentracija šių pacientų kraujyje yra sumažėjusi, ir jiems reikia dažnai perpilti kraują.

Gydant pjautuvinę anemiją, Casgevy skiriamas sunkia ligos forma sergantiems pacientams, kuriems pasireiškia pasikartojančios skausmingos krizės. Šia liga sergančių pacientų kraujyje yra pakitusios formos hemoglobino; dėl to raudonosios kraujo ląstelės tampa standžios, lipnios ir būna nebe disko, o pjautuvo formos. Šios ląstelės gali užkimšti kraujagysles ir sukelti skausmingas krūtines, pilvo ir kitų kūno dalių krizes.

Beta talasemija ir pjautuvinė anemija laikomos retomis ligomis, todėl Casgevy buvo priskirtas „retųjų vaistų“ (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai. Daugiau informacijos apie priskyrimą retiesiems vaistams galima rasti Europos vaistų agentūros interneto svetainėje: ([beta talasemija](#): 2019 m. spalio 17 d.; [pjautuvinė anemija](#): 2020 m. sausio 9 d.)

Casgevy sudėtyje yra veikliosios medžiagos genetiškai modifikuotų kamieninių ląstelių (ląstelių, iš kurių gali išsivystyti kraujo ląstelės), kurios paimtos iš paties paciento kraujo. Vaistas skiriamas, kai kamieninių ląstelių transplantacija yra tinkama pacientui ir kai nėra tinkamų kamieninių ląstelių donorų.

Kaip vartoti Casgevy?

Casgevy galima įsigyti tik pateikus receptą; šį vaistinį preparatą patvirtintame gydymo centre turi skirti gydytojas, turintis kamieninių ląstelių transplantacijos ir su hemoglobinu susijusių kraujo sutrikimų gydymo patirties.

Casgevy yra atskirai kiekvienam pacientui iš jo kraujo kamieninių ląstelių pagamintas preparatas, kuris turi būti skiriamas tik konkrečiam pacientui. Skiriama viena infuzijos dozė (sulašinama) į veną; vaisto dozė nustatoma pagal paciento kūno svorį.

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



Prieš vartojant Casgevy, pacientui taikomas parengiamasis gydymas chemoterapiniais vaistais, siekiant iš kaulų čiulpų pašalinti ląsteles.

Daugiau informacijos apie Casgevy vartojimą ieškokite pakuotės lapelyje arba kreipkitės į gydytoją arba vaistininką.

Kaip veikia Casgevy?

Gaminant Casgevy, kamieninės ląstelės redaguojamos (naudojant CRISPR/Cas9 technologiją), kad gamintų daugiau vaisiaus hemoglobino, t. y. hemoglobino, dažniausiai randamo gimdoje esančių kūdikių organizme, tačiau taip pat mažais kiekiais – ir suaugusiųjų organizme. Kadangi vaisiaus hemoglobinas gali padėti kompensuoti suaugusio žmogaus organizme trūkstantį hemoglobiną, pacientams sušvirkštus modifikuotų kamieninių ląstelių, gali padidėti beta talasemija sergančių pacientų raudonųjų kraujo ląstelių koncentracija ir pjautuvine anemija sergantiems pacientams nebepasireikšti skausmingų krizių.

Kokia Casgevy nauda nustatyta tyrimų metu?

Casgevy poveikis buvo vertinamas remiantis tebevykdomų dviejų tyrimų tarpiniais rezultatais. Šiuose tyrimuose Casgevy nebuvo lyginamas su kitu vaistu ar placebo.

Atliekant vieną tyrimą su 12–35 metų talasemija sergančiais pacientais, kuriems vaistas buvo skiriamas po parengiamojo gydymo chemoterapiniais vaistais, 39 iš 42 pacientų hemoglobino koncentracija kraujyje buvo didesnė už 9 g/dl ir jiems nereikėjo perpilti kraujo bent 12 mėnesių iš eilės.

Taip pat įrodyta, kad Casgevy yra veiksmingas siekiant išvengti skausmingų pjautuvinės anemijos krizių. Atliekant tyrimą su sunkios formos pjautuvine anemija sergančiais 12–35 metų pacientais, 28 iš 29 pacientų skausmingų krizių nepasireiškė bent 12 mėnesių, kai jiems Casgevy buvo skiriamas po parengiamojo gydymo chemoterapiniais vaistais. Nė vieno paciento (29 iš 29) dėl skausmingų krizių nereikėjo hospitalizuoti mažiausiai 12 mėnesių iš eilės.

Kokia rizika susijusi su Casgevy vartojimu?

Išsamų visų Casgevy šalutinio poveikio reiškinių ir apribojimų sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Dažniausias Casgevy šalutinis poveikis (galintis pasireikšti daugiau kaip 1 žmogui iš 10) yra galvos skausmas, pykinimas (šleikštulys) ir raumenų bei kaulų skausmas.

Gydytojai turi įvertinti, ar prieš pradedant vartoti Casgevy pacientams galima taikyti parengiamąjį gydymą.

Kodėl Casgevy buvo registruotas ES?

Beta talasemija, kuria sergant reikia atlikti kraujo perpylimus, ir pjautuvinė anemija yra sunkios ligos, kurioms gydyti tinkamų gydymo būdų nėra daug. Nors atlikti maži Casgevy tyrimai ir kilo neaiškumų dėl jų struktūros, rezultatai parodė, kad, taikant vienkartinį gydymą, gali sumažėti poreikis pacientams, sergantiems beta talasemija, perpilti raudonąsias kraujo ląsteles ir pjautuvine anemija sergantiems pacientams pasireiškiančių skausmingų krizių skaičius.

Kalbant apie saugumą, gydymas paprastai buvo gerai toleruojamas; šalutinį poveikį daugiausia sukėlė parengiamasis gydymas chemoterapiniais vaistais. Dėl nenumatytų genetinės medžiagos pokyčių

teoriškai pacientams gali kilti vėžio rizika, nors iki šiol tokių atvejų nenustatyta. Taip pat yra kraujavimo rizika, nes vartojant šį vaistinį preparatą gali sumažėti trombocitų (kraujui krešėti padedančių komponentų) koncentracija. Įgyvendinamos tokių reiškinių stebėjimo priemonės atliekant 15 metų registru grindžiamą tyrimą.

Europos vaistų agentūra nusprendė, kad Casgevy nauda yra didesnė už jo keliamą riziką, ir jis gali būti registruotas vartoti ES. Casgevy registracija yra sąlyginė. Tai reiškia, kad, įregistravusi vaistą, bendrovė turės pateikti papildomų įrodymų.

Sąlyginė registracija suteikiama remiantis mažiau išsamiais duomenimis, nei paprastai reikalaujama. Ji suteikiama vaistams, kurie patenkina nepatenkintą medicininį poreikį gydyti sunkias ligas ir kai ankstesnio vaistų prieinamumo nauda yra didesnė už riziką, siejamą su šių vaistų vartojimu, kol bus gauta daugiau įrodymų. Agentūra kasmet peržiūrės visą naujai gautą informaciją, kol duomenys taps išsamūs, ir, prireikus, atnaujins šią apžvalgą.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Casgevy vartojimą?

Casgevy prekiaujanti bendrovė pateiks šiuo metu vykdomų tyrimų rezultatus, kad būtų galima toliau vertinti vaisto veiksmingumą ir saugumą. Bendrovė taip pat parengs mokomąją medžiagą vaistą skirsiantiems sveikatos priežiūros specialistams, kurioje bus pateikta informacija apie vaisto saugumą, įskaitant galimą vėžio riziką, poreikį stebėti pacientų trombocitų koncentraciją kraujyje, ir apie vaisto skyrimo būdus. Pacientams taip pat bus išduotos rekomendacijos ir kortelė, kurią jie turi nešiotis su savimi.

Į preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį taip pat įtrauktos saugaus ir veiksmingo Casgevy vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kaip ir visų vaistų, Casgevy vartojimo duomenys nuolatos stebimi. Įtariamas Casgevy šalutinis poveikis yra kruopščiai vertinamas ir imamasi visų reikiamų priemonių pacientams apsaugoti.

Kita informacija apie Casgevy

Daugiau informacijos apie Casgevy rasite Agentūros tinklalapyje adresu:

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