



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zemcelpro (*dorokubicelas / nepadaugintos CD34-ląstelės*)

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

Kas yra Zemcelpro ir kam jis vartojamas?

Zemcelpro – tai iš kamieninių ląstelių sudarytas vaistas, kuriuo gydomi piktybinėmis kraujo ligomis (kraujo ląstelių vėžiu) sergantys suaugusieji, kuriems reikia alogeninių hematopoetinių kamieninių ląstelių (HKL) transplantacijos, nesant jiems tinkamų kitų rūšių donorinių ląstelių.

Alogeninių HKL transplantacija – tai procedūra, kurios metu paciento kaulų čiulpuose (stambių kaulų viduje esančiame akytame audinyje, kuriame gaminamos kraujo ląstelės) išnaikinamos ląstelės, kurios vėliau pakeičiamos tinkamo donoro ląstelėmis; persodintos ląstelės dauginasi ir virsta sveikomis specializuotomis kraujo ir imuninėmis ląstelėmis. Zemcelpro infuzija atliekama po vadinamojo kondicionavimo (parengiamojo gydymo) vaistais nuo vėžio, kuriuo siekiama išnaikinti ląsteles kaulų čiulpuose.

HKL transplantacija laikoma reta procedūra, todėl 2020 m. balandžio 22 d. Zemcelpro buvo priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai pagal pacientų, kuriems reikia atlikti HKL transplantaciją, gydymo indikaciją. Daugiau informacijos apie priskyrimą retiesiems vaistams galima rasti EMA [tinklalapyje](#).

Zemcelpro gaminamas kiekvienam konkrečiam pacientui. Jo sudėtyje yra dviejų rūšių kamieninių ląstelių iš donuoto virkštelės kraujo: dorokubicelo (padaugintų CD34+ ląstelių; „padaugintos“ reiškia, kad ląstelės buvo auginamos ir dauginamos laboratorijoje) ir nepadaugintų CD34- ląstelių.

Kaip vartoti Zemcelpro?

Zemcelpro galima įsigyti tik pateikus receptą. Jo infuziją turi atlikti gydytojas, turintis kraujo ląstelių vėžio gydymo patirties, specializuotame transplantacijos centre, kurio specialistai yra sukaupę praktinės HKL transplantacijos patirties.

Zemcelpro vartojamas atliekant vienos dozės intraveninę infuziją (lašinama į veną). Vieną Zemcelpro dozę sudaro 1–4 infuziniai maišeliai su dorokubicelu ir 4 maišeliai su nepadaugintomis CD34-ląstelėmis.

Prieš gydymą Zemcelpro ir po jo pacientams skiriami kiti vaistai, siekiant sumažinti su infuzija susijusių reakcijų riziką ir išvengti transplantacijos komplikacijų.

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



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

Kaip veikia Zemcelpro

Zemcelpro gydomi pacientai, kuriems reikia alogeninių HKL transplantacijos, nesant jiems tinkamų kitų rūšių donorinių ląstelių.

Gydant šiuos pacientus, galima naudoti virkštelės kraujo ląsteles, tačiau kai kuriems pacientams tinkamo virkštelės kraujo nėra, nes donuotame virkštelės kraujyje būna pernelyg mažai kamieninių ląstelių. Dėl pernelyg mažo kamieninių ląstelių kiekio virkštelės kraujyje prigijimas (procesas, kurio metu persodintos ląstelės pradeda augti ir gaminti sveikas kraujo ląsteles) prasideda vėliau.

Dalis Zemcelpro sudėtyje esančių kamieninių ląstelių iš virkštelės kraujo yra laboratorijoje užaugintos ir padaugintos ląstelės, kurios pacientui sulašinamos į veną kartu su nepadaugintomis ląstelėmis iš to paties virkštelės kraujo. Padaugintos CD34+ ląstelės daugiausia skatina sveikų kraujo ląstelių augimą, o nepadaugintos CD34- ląstelės palaiko šį procesą ir padeda pašalinti likusias vėžines ląsteles. Po infuzijos Zemcelpro sudėtyje esančios kamieninės ląstelės nukeliauja į kaulų čiulpus, kur dauginasi, subręsta ir tampa sveikomis specializuotomis kraujo ir imuninėmis ląstelėmis.

Kokia Zemcelpro nauda nustatyta tyrimų metu?

Zemcelpro nauda įrodyta atliekant du pagrindinius tyrimus, kuriuose dalyvavo 25 didelės rizikos leukemija arba mielodisplazija (kraujo vėžiu) sergantys pacientai, kuriems reikėjo persodinti alogenines HKL, bet nebuvo tinkamų kitų rūšių donorinių ląstelių. Atliekant šiuos dar neužbaigtus tyrimus Zemcelpro nebuvo lyginamas su jokių kitų vaistu.

Tyrimai parodė, kad vidutinis laikas nuo Zemcelpro infuzijos, per kurį pacientai pasiekė neutrofilų prigijimo rodiklius (kai persodintos ląstelės pradeda augti ir gaminti neutrofilus – tam tikros rūšies baltąsias kraujo ląsteles), buvo 20 dienų. Iki 42-os dienos neutrofilų prigijimo rodiklius pasiekė 21 iš 25 (84 proc.) pacientų.

Be to, trombocitų prigijimo rodiklius (kai persodintos ląstelės pradeda augti ir gaminti trombocitus – sudedamąsias dalis, kurios padeda kraujui krešėti) pacientai pasiekė per vidutiniškai 40 dienų po Zemcelpro infuzijos; iki 100-os dienos trombocitų prigijimo rodiklius pasiekė 17 iš 25 (68 proc.) pacientų.

Pirmiau aprašyti rezultatai rodo, kad transplantacija buvo sėkminga ir kad kaulų čiulpuose pradėjo gamintis naujos kraujo ląstelės.

Kokia rizika susijusi su Zemcelpro vartojimu?

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

Dažniausias Zemcelpro šalutinis poveikis (galintis pasireikšti daugiau kaip 1 žmogui iš 10) yra limfopenija (sumažėjęs baltųjų kraujo ląstelių limfocitų kiekis), infekcijos, mažakraujystė (sumažėjęs raudonųjų kraujo ląstelių kiekis), neutropenija (sumažėjęs neutrofilų kiekis), trombocitopenija (sumažėjęs trombocitų kiekis), leukopenija (sumažėjęs baltųjų kraujo ląstelių kiekis), hipogamaglobulinemija (sumažėjęs antikūnų kiekis kraujyje), febrilinė neutropenija (sumažėjęs neutrofilų kiekis su karščiavimu), hipertenzija (padidėjęs kraujospūdis), prigijimo sindromas (HKL transplantacijos komplikacija, pasireiškianti tokiais simptomais kaip karščiavimas, išbėrimas ir kitos uždegiminės reakcijos) ir pneumonija (plaučių infekcija). Ūminė transplantato prieš šeimininką liga (TPŠL, kai donoro ląstelės pradeda „atakuoti“ recipiento organizmą netrukus po transplantacijos)

nustatyta 60 proc. pacientų, o lėtinė TPŠL (kuri paprastai išsivysto vėliau nei ūminė TPŠL, t. y. praėjus kelioms savaitėms ar mėnesiams po transplantacijos) – 16 proc. pacientų.

Maždaug 8 proc. Zemcelpro gydytų pacientų pasireiškė šie jų mirtį sukėlę šalutinio poveikio reiškiniai: infekcijos, ūminė TPŠL, plaučių alveolinė hemoragija (būklė, kai prasideda kraujavimas į plaučiuose esančius oro maišelius), pneumonitas (plaučių uždegimas, pvz., idiopatinis pneumonijos sindromas ir kriptogeninė organizuojanti pneumonija) ir plaučių hipertenzija (padidėjęs kraujospūdis plaučius kraujui aprūpinančiose kraujagyslėse).

Kodėl Zemcelpro buvo registruotas ES?

Šio vaisto registracijos procedūros metu kraujo ląstelių vėžiu sergančių pacientų, kuriems reikėjo atlikti alogeninių HKL transplantaciją, nesant pacientui tinkamų kitų rūšių donorinių ląstelių, gydymas buvo kliniškai sudėtingas. Tokie pacientai neturėjo kitų vaistų pasirinkimo galimybių, o jų galimybės pasveikti buvo labai menkos.

Remiantis keletu šiuo metu dar neužbaigtuose tyrimuose dalyvaujančių pacientų rezultatais, gydymas Zemcelpro paskatino greitą, tvirtą ir ilgalaikį neutrofilų ir trombocitų skaičiaus atsistatymą, o tai rodo, kad Zemcelpro gali būti naudingas šiems pacientams. Nuspręsta, kad Zemcelpro saugumas gydant šiuos pacientus yra priimtinas, nes registracijos procedūros metu šie pacientai neturėjo jokių kitų vaistų pasirinkimo galimybių.

Zemcelpro registracija ES yra sąlyginė. Tai reiškia, kad vaistas buvo registruotas remiantis mažiau išsamiais duomenimis, nei paprastai reikalaujama, nes jis patenkina nepatenkintą medicininį poreikį. Europos vaistų agentūra mano, kad vaisto ankstesnio prieinamumo nauda yra didesnė už riziką, siejamą su šio vaisto vartojimu, kol bus gauta daugiau įrodymų.

Bendrovė turi pateikti daugiau duomenų apie Zemcelpro. Ji turi pateikti galutinius dviejų šiuo metu tebevykdomų pagrindinių tyrimų ir dviejų papildomų Zemcelpro tyrimų rezultatus ir pateikti kito tyrimo, atliekamo remiantis Zemcelpro gydytų pacientų registro duomenimis, duomenis. Agentūra kasmet peržiūrės visą naujai gautą informaciją.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Zemcelpro vartojimą?

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

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

Kita informacija apie Zemcelpro

Daugiau informacijos apie Zemcelpro rasite Agentūros tinklalapyje adresu:

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