



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2021 m. rugsėjo 16 d.
EMA/546292/2021

CHMP patvirtino peržiūros procedūros metu nustatytą faktą, kad tarp Zynteglo virusinio vektoriaus ir kraujo vėžio nenustatyta jokios sąsajos

2021 m. liepos 22 d. EMA Žmonėms skirtų vaistų komitetas (CHMP) patvirtino peržiūros procedūros metu nustatytus faktus, kuriais remiantis prieita prie išvados, kad nėra įrodymų jog Zynteglo sukelia kraujo vėžį, vadinamą ūmine mieloidine leukemija (ŪML).

Zynteglo, kraujo sutrikimo beta talasemijos genų terapijos vaistas, naudoja virusinį vektorių (arba modifikuotą virusą), pernešantį veikiantį geną į paciento kraujo ląsteles.

Atliekant peržiūrą, buvo apsvarstyti du ŪML atvejai, nustatyti pacientams, kurie buvo gydomi tiriamuoju vaistu, bb1111, atliekant klinikinį tyrimą dėl pjautuvo pavidalo ląstelių anemijos. Nors pranešimų apie ŪML vartojant Zynteglo negauta, abu vaistai naudoja tą patį virusinį vektorių ir susirūpinimą kėlė tai, kad vektorius gali būti susijęs su vėžio vystymusi (įterptinė onkogenezė).

EMA Farmakologinio budrumo rizikos vertinimo komitetui (PRAC), padedamam Pažangiosios terapijos komiteto (CAT) specialistų atlikus peržiūrą nustatyta, kad virusinis vektorius veikiausiai nėra priežastis. Vieno iš pacientų vėžinėse ląstelėse nebuvo virusinio vektoriaus, o kito paciento ląstelėse jis buvo toje vietoje (VAMP4), kuri, manyta, nėra susijusi su vėžio vystymusi.

Išnagrinėjus visus įrodymus tapo aišku, kad įtikinamesni su ŪML susijusių atvejų paaiškinimai siejami su kondicionavimu, kurį pacientai gavo kaulų čiulpų ląstelėms pašalinti, ir su didesne kraujo vėžio rizika pjautuvo pavidalo ląstelių anemija sergantiems žmonėms.

Pacientams, kuriems Zynteglo skiriamas beta talasemijai gydyti, taip pat reikalingas kondicionavimas jų kaulų čiulpų ląstelėms pašalinti prieš vartojant Zynteglo. Todėl sveikatos priežiūros specialistai turėtų aiškiai informuoti Zynteglo gydomus pacientus apie padidėjusią kraujo vėžio riziką, kurią kelia kondicionavimui naudojami vaistai.

CHMP pritarė atnaujintoms pacientų stebėsenos rekomendacijoms. Dabar sveikatos priežiūros specialistai turėtų tikrinti, ar pacientams nepasireiškia kraujo vėžio požymiai, **bent** kartą per metus¹ 15 metų.

¹ Ankstesnė sveikatos priežiūros specialistams skirta rekomendacija nurodė kartą per metus patikrinti, ar pacientams nepasireiškia vėžio požymiai.



CHMP priėjo prie išvados, kad Zynteglo teikiama nauda tebėra didesnė už jo keliamą riziką. Kaip ir visų vaistų, EMA stebės visus naujus duomenis apie vaisto saugumą ir prireikus atnaujins pacientams ir sveikatos priežiūros specialistams skirtas rekomendacijas.

Informacija pacientams

- EMA atlikus peržiūrą, nenustatyta jokių įrodymų, kad Zynteglo esantis virusinis vektorius sukelia kraujo vėžį, vadinamą ūmine mieloidine leukemija (ŪML).
- Zynteglo ir toliau bus vartojamas kaip anksčiau. Tačiau jūsų sveikatos priežiūros specialistas gali dažniau nei kartą per metus pakviesti jus pasitikrinti sveikatą dėl vėžio.
- Jeigu jums iškiltų klausimų dėl jums paskirto gydymo, pasitarkite su savo sveikatos priežiūros specialistu.

Informacija sveikatos priežiūros specialistams

- EMA atlikus peržiūrą, prieita prie išvados, kad nėra įrodymų, jog Zynteglo esantis virusinis vektorius sukelia ŪML.
- Nors dviem pacientams, kurie buvo gydomi tuo pačiu kito vaisto sudėtyje esančiu virusiniu vektoriumi, buvo nustatyta ŪML, yra labiau už įterptinę onkogenę tikėtinių paaiškinimų, įskaitant pacientams skirtą kondicionavimą ir didesnę hematologinio vėžio riziką pjautuvo pavidalo ląstelių anemija sergantiems pacientams.
- Sveikatos priežiūros specialistai turėtų aiškiai informuoti Zynteglo gydomus pacientus apie padidėjusią kraujo vėžio riziką, kurią kelia kondicionavimui naudojami vaistai.
- Sveikatos priežiūros specialistai turėtų toliau stebėti pacientus dėl vėžio. EMA atnaujino savo rekomendaciją dėl vėžio atrankinės patikros ir pakeitė reikalavimą nuo vieno karto per metus iki **bent** kartą per metus.

Daugiau informacijos apie vaistą

Zynteglo – tai vienkartinis gydymas nuo kraujo sutrikimo, vadinamo beta talasemija, 12 metų ir vyresniems pacientams, kuriems reikia reguliariai perpilti kraują.

Gaminant Zynteglo iš paciento kraujo paimtos kamieninės ląstelės modifikuojamos virusu, kuris į ląsteles perkelia veikiančias beta globino geno kopijas. Į paciento organizmą sugrąžintos modifikuotos ląstelės per kraujotaką patenka į kaulų čiulpus, kur pradeda gaminti sveikas raudonasis kraujo ląstelės, išskiriančias beta globiną. Tikimasi, kad gydymo Zynteglo poveikis išliks visą paciento gyvenimą.

2019 m. gegužės mėn. Zynteglo buvo registruotas sąlyginiu būdu. Sąlyginė registracija reiškia, kad ateityje bendrovė pateiks daugiau duomenų apie šį vaistą. EMA reguliariai peržiūri naują gautą informaciją.

Daugiau informacijos apie procedūrą

Zynteglo peržiūros procedūra buvo pradėta 2021 m. vasario 18 d. Europos Komisijos prašymu vadovaujantis [Reglamento \(EB\) Nr. 726/2004 20 straipsniu](#).

Pirmiausia peržiūrą atliko Farmakologinio budrumo rizikos vertinimo komitetas (PRAC) – komitetas, atsakingas už žmonėms skirtų vaistų saugumo klausimų vertinimą, kuris glaudžiai bendradarbiavo su [Pažangiosios terapijos komiteto \(CAT\)](#) specialistais.

PRAC rekomendacijos buvo nusiųstos CAT, kuris 2021 m. liepos 16 d. pagal PRAC rekomendacijas priėmė nuomonės projektą, o vėliau – Žmonėms skirtų vaistų komitetui (CHMP), kuris yra atsakingas už su žmonėms skirtais vaistais susijusius klausimus. 2021 m. liepos 22 d. CHMP, atsižvelgdamas į CAT nuomonės projektą, priėmė galutinę Agentūros nuomonę. CHMP nuomonė persiūsta Europos Komisijai, kuri 2021 m. rugsėjo 16 d. paskelbė visose ES valstybėse narėse taikytiną teisiškai privalomą galutinį sprendimą.

Neberegistruotas vaistinis preparatas