



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Casgevy (*eksagamglogēna autotemcels*)

Casgevy pārskats un kāpēc tās ir reģistrētas ES

Kas ir Casgevy un kāpēc tās lieto?

Casgevy ir zāles, ko lieto, lai ārstētu asins traucējumus, ko sauc par beta talasēmiju un sirpjveida šūnu anēmiju, pacientiem no 12 gadu vecuma.

Beta talasēmijas gadījumā Casgevy lieto pacientiem, kuriem nepieciešama regulāra asins pārlišana. Pacientiem ar šo ģenētisko slimību netiek pietiekamā daudzumā sintezēts hemoglobīns, t. i., sarkano asins šūnu olbaltumviela, kas apgādā organismu ar skābekli. Tā rezultātā šiem pacientiem ir zems sarkano asins šūnu līmenis un nepieciešama bieža asins pārlišana.

Sirpjveida šūnu anēmijas gadījumā Casgevy lieto pacientiem ar smagu slimības gaitu un atkārtotām sāpīgām lēkmēm. Pacientiem ar šo slimību ir patoloģiska hemoglobīna forma, kad sarkanās asins šūnas zaudē elastību, kļūst lipīgas un maina formu no diskveida uz pusloka (kā sirpis). Šīs šūnas var aizsprostot asinsvadus, izraisot sāpīgas lēkmes, kas skar krūškurvi, vēderu un citas ķermeņa daļas.

Beta talasēmija un sirpjveida šūnu anēmija ir reta slimība, un Casgevy tika piešķirts reti sastopamu slimību ārstēšanai paredzētu zāļu statuss. Sīkāka informācija par reti sastopamu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu statusa piešķiršanu ir atrodama Eiropas Zāļu aģentūras tīmekļa vietnē ([beta talasēmija](#): 2019. gada 17. oktobris; [sirpjveida šūnu anēmija](#): 2020. gada 9. janvāris)

Casgevy kā aktīvo vielu satur ģenētiski modificētas cilmes šūnas (šūnas, kas var attīstīties par asins šūnām), kas ņemtas no paša pacienta asinīm. Šīs zāles lieto, ja ārstēšana ar cilmes šūnām ir piemērota un nav pieejami piemēroti cilmes šūnu donori.

Kā lieto Casgevy?

Casgevy var iegādāties tikai pret recepti, un tās jāievada apstiprinātā medicīnas centrā ārstam, kurš ir apmācīts šo zāļu lietošanā un kuram ir pieredze cilmes šūnu transplantācijā un hemoglobīna izraisītu asins traucējumu ārstēšanā.

Casgevy katram pacientam tiek gatavotas individuāli no cilmes šūnām, kas savāktas no viņa asinīm, un tās ir jāievada tikai tam pacientam, kuram tās ir gatavotas. Šīs zāles tiek ievadītas vēnā kā vienas devas infūzija (pa pilienam), un deva ir atkarīga no pacienta ķermeņa masas.

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



Pirms *Casgevy* ievadīšanas pacients saņem kondicionējošu ķīmijterapiju kaulu smadzeņu atbrīvošanai no šūnām.

Papildu informāciju par *Casgevy* lietošanu skatīt zāļu lietošanas instrukcijā vai jautāt ārstam vai farmaceitam.

Kā *Casgevy* darbojas?

Lai izgatavotu *Casgevy*, cilmes šūnas tiek rediģētas (ar CRISPR/Cas9 tehnoloģijas palīdzību), lai tās ražotu vairāk fetālā hemoglobīna, t.i. hemoglobīna veida, kas galvenokārt atrodams zīdaiņiem mātes dzemdē, bet nelielā daudzumā arī pieaugušajiem. Tā kā fetālais hemoglobīns var kompensēt normāla hemoglobīna trūkumu pieaugušajiem, modificētās cilmes šūnas, injicējot tās pacientiem, var paaugstināt sarkano asins šūnu līmeni pacientiem ar beta-talasēmiju un novērst sāpīgas lēkmes pacientiem ar sirpjveida šūnu anēmiju.

Kādi *Casgevy* ieguvumi atklāti pētījumos?

Casgevy iedarbību nosaka, pamatojoties uz divu vēl notiekošu pētījumu starpposma rezultātiem. Pētījumos *Casgevy* nesalīdzināja ar citām zālēm vai placebo.

Vienā pētījumā ar pacientiem ar talasēmiju vecumā no 12 līdz 35 gadiem, kuriem zāles tika ievadītas pēc sagatavojošās ķīmijterapijas, 39 pacientiem no 42 saglabājās hemoglobīna līmenis virs 9 g/dl bez asins pārliešanas vismaz 12 mēnešus pēc kārtas.

Tika arī pierādīts, ka *Casgevy* efektīvi novērš sāpīgas sirpjveida šūnu lēkmes. Pētījumā ar pacientiem vecumā no 12 līdz 35 gadiem ar smagu sirpjveida šūnu slimību 28 no 29 pacientiem vismaz 12 mēnešus pēc kārtas, ārstējot ar *Casgevy*, nenovēroja nekādas sāpīgas lēkmes vismaz 12 mēnešus pēc sagatavojošās ķīmijterapijas. Nevienam no pacientiem (29 no 29) nebija nepieciešama hospitalizācija sāpīgu lēkmju dēļ vismaz 12 mēnešus pēc kārtas.

Kāds risks pastāv, lietojot *Casgevy*?

Pilnu visu ziņoto blakusparādību un ierobežojumu sarakstu, lietojot *Casgevy*, skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

Visbiežākās *Casgevy* blakusparādības (kas var rasties vairāk nekā 1 no 10 cilvēkiem) ir galvassāpes, slikta dūša (nelabums) un muskuļu un kaulu sāpes.

Pirms *Casgevy* lietošanas ārstiem ir jāapsver, vai pacienti var lietot nepieciešamās iepriekšējās ārstēšanas metodes.

Kāpēc *Casgevy* ir reģistrētas ES?

Beta talasēmija, kam nepieciešama asins pārliešana, un sirpjveida šūnu anēmija ir nopietnas slimības, kuru ārstēšanas iespējas ir ierobežotas. Lai gan pētījumi ar *Casgevy* bija nelieli un ar to izstrādi bija saistītas neskaidrības, tie pierādīja, ka vienreizēja ārstēšana var samazināt vajadzību pēc sarkano asins šūnu pārliešanas pacientiem ar beta-talasēmiju un samazināt sāpīgu lēkmju skaitu pacientiem ar sirpjveida šūnu anēmiju.

Drošuma ziņā ārstēšana kopumā bija labi panesama, un blakusparādības galvenokārt bija saistītas ar sagatavojošu ķīmijterapiju. Varētu būt teorētisks risks saslimt ar vēzi, ko izraisa neparedzētas izmaiņas ģenētiskajā materiālā, lai gan līdz šim šādi gadījumi nav konstatēti. Pastāv arī potenciāls asiņošanas risks, jo zāles var izraisīt trombocītu (asins sastāvdaļu, kas palīdz asinīm sarecēt) skaita

samazināšanos. Ir ieviesti pasākumi, lai uzraudzītu šādus gadījumus, veicot 15 gadus ilgu uz reģistru balstītu pētījumu.

Eiropas Zāļu aģentūra nolēma, ka ieguvums, lietojot *Casgevy*, pārsniedz šo zāļu radīto risku un zāles var reģistrēt lietošanai ES. *Casgevy* ir reģistrētas "ar nosacījumiem". Tas nozīmē, ka uzņēmumam pēc reģistrācijas būs jāiesniedz papildu pierādījumi.

Reģistrācija ar nosacījumiem tiek piešķirta, pamatojoties uz mazāk visaptverošiem datiem, nekā parasti tiek prasīts. Tā tiek piešķirta zālēm, kas atbilst neapmierinātām medicīniskām vajadzībām ārstēt nopietnas slimības, un, gaidot papildu pierādījumus, ieguvumi no to pieejamības ir lielāki par riskiem, kas saistīti ar zāļu lietošanu. Aģentūra ik gadu pārbaudīs visu pieejamo jauno informāciju, līdz dati kļūst visaptveroši, un vajadzības gadījumā atjauninās šo kopsavilkumu.

Kas tiek darīts, lai garantētu drošu un efektīvu *Casgevy* lietošanu?

Uzņēmums, kas piedāvā tirgū *Casgevy*, iesniegs notiekošo pētījumu rezultātus, lai sīkāk novērtētu zāļu efektivitāti un drošumu. Uzņēmums nodrošinās arī izglītojošus materiālus veselības aprūpes speciālistiem, kuri varētu lietot zāles, ar informāciju par to drošumu, tostarp par potenciālo vēža risku un nepieciešamību uzraudzīt pacienta trombocītu līmeni, kā arī par to, kā šīs zāles ir jāievada. Pacienti arī saņems norādes un kartīti, kas jānēsā līdzī.

Zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā tika ietverti arī ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem, lai garantētu drošu un efektīvu *Casgevy* lietošanu.

Tāpat kā par visām zālēm, dati par *Casgevy* lietošanu tiek pastāvīgi uzraudzīti. Ziņotās ar *Casgevy* lietošanu saistītās iespējamās blakusparādības tiek rūpīgi izvērtētas, un tiek veikti visi pacientu aizsardzībai nepieciešamie pasākumi.

Cita informācija par *Casgevy*

Sīkāka informācija par *Casgevy* ir atrodama aģentūras tīmekļa vietnē:

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