



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zemcelpro (dorokubicels/nepavairotas CD34- šūnas)

Zemcelpro pārskats un kāpēc tās ir reģistrētas ES

Kas ir *Zemcelpro* un kāpēc tās lieto?

Zemcelpro ir cilmes šūnu zāles, ko lieto, lai ārstētu pieaugušos, kuriem ir hematoloģiski ļaundabīgi audzēji (asins šūnu ļaundabīgi audzēji) un ir nepieciešama alogēna asinsrades cilmes šūnu transplantācija (*allogeneic haematopoietic stem cell transplantation; allo-HSCT*), bet nav pieejamas cita veida piemērotas donora šūnas.

Allo-HSCT ir procedūra, kuras laikā pacienta kaulu smadzenēs (sūkļveida audos lielajos kaulos, kur veidojas asins šūnas) tiek iznīcinātas šūnas, ko pēc tam aizstāj ar šūnām no atbilstoša donora. Transplantētās šūnas vairojas un attīstās par veselām specializētām asins un imūnsistēmas šūnām. *Zemcelpro* lieto pēc tam, kad pacienti ir saņēmuši kondicionējošu (sagatavojošu) terapiju ar pretvēža zālēm kaulu smadzenēs esošo šūnu iznīcināšanai.

HSCT ir reta procedūra, un 2020. gada 22. aprīlī *Zemcelpro* tika piešķirts reti sastopamu slimību ārstēšanai paredzētu zāļu statuss lietošanai pacientiem, kuriem nepieciešama *HSCT*. Sīkāka informācija par retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu statusa piešķiršanu ir atrodama EMA [tīmekļa vietnē](#).

Zāles *Zemcelpro* tiek īpaši ražotas katram pacientam. Tās satur divu veidu cilmes šūnas no ziedotām nabassaites asinīm: dorokubicelu (pavairotas CD34+ šūnas; pavairots nozīmē, ka šūnas ir audzētas un pavairotas laboratorijā) un nepavairotas CD34- šūnas.

Kā lieto *Zemcelpro*?

Zemcelpro var iegādāties tikai pret recepti. Šīs zāles jāievada specializētā transplantācijas centrā, kura darbiniekiem ir pieredze *HSCT* jomā, un ārstam ar pieredzi asins šūnu vēža ārstēšanā.

Zemcelpro ievada vēnā infūzijas veidā (pa pilienam) vienu reizi, kā vienu devu. Viena *Zemcelpro* deva sastāv no 1 līdz 4 infūzijas maisiem, kas satur dorokubicelu, un 4 maisiem, kas satur nepavairotas CD34- šūnas.

Pirms un pēc ārstēšanas ar *Zemcelpro* pacientiem ievada citas zāles, lai samazinātu ar infūziju saistīto reakciju risku un novērstu transplantācijas komplikācijas.

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

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



Kā *Zemcelpro* darbojas?

Zemcelpro lieto, lai ārstētu asins vēža slimniekus, kuriem ir nepieciešama *allo-HSCT* un kuriem nav pieejamas cita veida piemērotas donora šūnas.

Šiem pacientiem var izmantot nabassaites asins šūnas, tomēr dažiem pacientiem nav pieejamas piemērotas nabassaites asinis, jo ziedotajās nabassaites asinīs ir mazs cilmes šūnu skaits. Neliels skaits cilmes šūnu nabassaites asinīs var aizkavēt transplantāta iedzīvošanos (kad transplantētās šūnas sāk augt un veido veselīgas asins šūnas).

Zemcelpro gadījumā dažas nabassaites cilmes šūnas audzē un pavairo laboratorijā, un pēc tam tās ievada kopā ar nepavairotām šūnām no tām pašām nabassaites asinīm. Veselīgu asins šūnu augšanu galvenokārt veicina pavairotās CD34+ šūnas, bet nepavairotās CD34- šūnas to atbalsta un palīdz arī iznīcināt atlikušās vēža šūnas. Pēc infūzijas *Zemcelpro* cilmes šūnas migrē uz kaulu smadzenēm, kur tās vairojas, nobriest un attīstās par veselām specializētām asins un imūnsistēmas šūnām.

Kādi *Zemcelpro* ieguvumi atklāti pētījumos?

Zemcelpro ieguvumi tika pierādīti divos pamatpētījumos, iesaistot 25 pacientus ar augsta riska leikozi vai mielodisplāziju (asins vēža veidi), kuriem bija nepieciešama *allo-HSCT* un kuriem nebija pieejamas cita veida piemērotas donora šūnas. Notiekošajos pētījumos *Zemcelpro* nesalīdzināja ne ar vienu citu ārstēšanas līdzekli.

Pētījumos tika pierādīts, ka vidējais laiks, kas bija nepieciešams pacientiem, lai pēc *Zemcelpro* saņemšanas panāktu neitrofilo leukocītu iedzīvošanos (kad transplantētās šūnas sāk augt un veidot noteiktas baltās asins šūnas — neitrofilos leukocītus), bija 20 dienas. Līdz 42. dienai 21 no 25 pacientiem (84 %) bija panākta neitrofilo leukocītu iedzīvošanās.

Turklāt vidēji 40 dienas pēc *Zemcelpro* lietošanas pacientiem tika panākta trombocītu iedzīvošanās (kad transplantētās šūnas sāk augt un veidot trombocītus — sastāvdaļas, kas palīdz asinīm sarecēt); līdz 100. dienai 17 no 25 pacientiem (68 %) bija panākta trombocītu iedzīvošanās.

Iepriekš minētie rezultāti liecina, ka transplantācija bija sekmīga un ka kaulu smadzenēs sāka veidoties jaunas asins šūnas.

Kāds risks pastāv, lietojot *Zemcelpro*?

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

Visbiežākās *Zemcelpro* blakusparādības (kas var rasties vairāk nekā 1 no 10 cilvēkiem) ir limfopēnija (zems limfocītu — balto asins šūnu veida — līmenis), infekcijas, anēmija (zems sarkano asins šūnu līmenis), neitropēnija (zems neitrofilo leukocītu līmenis), trombocitopēnija (zems trombocītu līmenis), leukopēnija (zems balto asins šūnu līmenis), hipogammaglobulinēmija (pazemināts antivielu līmenis asinīs), febrila neitropēnija (zems neitrofilo leukocītu līmenis ar drudzi), hipertensija (augsts asinsspiediens), transplantēto šūnu sindroms (HSCT komplikācija ar tādiem simptomiem kā drudzis, izsitumi un citas iekaisuma reakcijas) un pneimonija (plaušu infekcija). 60 % pacientu tika ziņots par akūtu transplantāta tremi (GvHD (*graft-versus-host disease*), kad donora šūnas neilgi pēc transplantācijas uzbrūk organismam), un 16 % pacientu tika ziņots par hronisku GvHD (kas parasti attīstās vēlāk nekā akūta GvHD, vairāku nedēļu līdz mēnešu laikā pēc transplantācijas).

Blakusparādības, kas izraisīja nāvi, radās aptuveni 8 % pacientu, kurus ārstēja ar *Zemcelpro*, un to vidū bija infekcijas, akūta GvHD, plaušu alveolārā hemorāģija (slimība, kad asiņošana notiek plaušu gaisa maisīšos), pneimonīts (plaušu iekaisums, piemēram, idiopātisks pneimonijas sindroms un

kriptogēniska organizējoša pneimoniya) un pulmonāla hipertensija (augsts asinsspiediens asinsvados, kas apgādā plaušas).

Kāpēc *Zemcelpro* ir reģistrētas ES?

Reģistrācijas brīdī klīniska problēma bija tādu asins šūnu vēža slimnieku ārstēšana, kuriem bija nepieciešama *HSCT* un kuriem nebija pieejamas cita veida piemērotas donora šūnas. Šiem pacientiem nebija pieejamas citas ārstēšanas iespējas un bija minimāla atveseļošanās iespēja.

Pamatojoties uz rezultātiem, kas iegūti nelielam skaitam pacientu šobrīd notiekošajos pētījumos, neitrofilo leukocītu un trombocītu skaita atjaunošanās pēc ārstēšanas ar *Zemcelpro* bija ātra, stabila un noturīga, kas liecina, ka *Zemcelpro* var sniegt ieguvumu šiem pacientiem. *Zemcelpro* drošums šiem pacientiem, kuriem reģistrācijas apliecības piešķiršanas laikā nebija citu ārstēšanas iespēju, tika uzskatīts par pieņemamu.

Zemcelpro ir reģistrētas ar nosacījumiem lietošanai ES. Tas nozīmē, ka tās ir reģistrētas, pamatojoties uz mazāk visaptverošiem datiem, nekā parasti tiek pieprasīts, jo tās apmierina aktuālu neapmierinātu medicīnisku vajadzību. Eiropas Zāļu aģentūra uzskata, ka ieguvums no zāļu agrākas pieejamības atsver ar to lietošanu saistītos riskus, kamēr nav saņemti papildu pierādījumi.

Uzņēmumam ir jāsniedz papildu dati par *Zemcelpro*. Uzņēmumam ir jāiesniedz abu notiekošo *Zemcelpro* pamatpētījumu un divu papildu pētījumu galīgie rezultāti un dati no cita pētījuma, kura pamatā ir ar *Zemcelpro* ārstēto pacientu reģistrs. Aģentūra katru gadu pārbaudīs visu jauniegūto informāciju.

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

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

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

Cita informācija par *Zemcelpro*

Sīkāka informācija par *Zemcelpro* ir atrodamā aģentūras tīmekļa vietnē:

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