



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2021. gada 16. septembris
EMA/546292/2021

CHMP apstiprina pārskatu, kurā nav konstatēta saikne starp *Zynteglo* vīrusa vektoru un asins vēzi

EMA Cilvēkiem paredzēto zāļu komiteja (CHMP) 2021. gada 22. jūlijā apstiprināja pārskatīšanas konstatējumus, kuros secināja, ka nav pierādījumu par to, ka *Zynteglo* izraisa asins vēzi, kas zināms kā akūta mieloleikoze (AML).

Zynteglo, kas ir beta-talasēmijas asins traucējuma gēnu terapija, izmanto vīrusa vektoru (vai modificētu vīrusu), lai pacienta asins šūnās ievadītu funkcionējošu gēnu.

Pārskatīšanā izskatīja divus AML gadījumus pacientiem, kuri ārstēti ar pētāmajām zālēm bb1111, klīniskā pētījumā par sirpjveida šūnu slimību. Lai gan nav saņemti ziņojumi par AML, ārstējot ar *Zynteglo*, abas zāles lieto vienu un to pašu vīrusa vektoru un pastāv bažas, ka šis vektors var būt iesaistīts vēža attīstībā (insercijas onkoģenēze).

EMA Farmakovigilances riska vērtēšanas komitejas (PRAC) veiktajā pārskatīšanā, ko atbalstīja Uzlaboto terapiju komitejas (CAT) eksperti, konstatēja, ka vīrusa vektors, visticamāk, nav tā cēlonis. Vienam pacientam vēža šūnās nebija vīrusa vektora, bet otram pacientam tas bija vietā (VAMP4), kas, šķiet, nav iesaistīta vēža attīstībā.

Pēc visu pierādījumu izskatīšanas bija skaidrs, ka ticamāki skaidrojumi par AML gadījumiem ietvēra kondicionējošo terapiju, ko pacienti saņēma, lai attīrītu kaulu smadzeņu šūnas, un augstāku asins vēža risku cilvēkiem ar sirpjveida šūnu slimību.

Pacientiem, kuri saņem *Zynteglo* beta-talasēmijas ārstēšanai, nepieciešama arī kondicionējoša terapija, lai attīrītu kaulu smadzeņu šūnas pirms *Zynteglo* saņemšanas. Tāpēc veselības aprūpes speciālistiem ir skaidri jāinformē pacienti, kuri saņem *Zynteglo*, par paaugstinātu asins vēža risku no kondicionējošās terapijas zālēm.

CHMP vienojās par pacientu novērošanas ieteikumu atjaunināšanu. Veselības aprūpes speciālistiem tagad **vismaz** reizi gadā 15 gadus ir jāpārbauda, vai pacientiem nerodas asins vēža pazīmes.¹

CHMP secināja, ka *Zynteglo* ieguvumi joprojām pārsniedz šo zāļu radīto risku. Tāpat kā par visām zālēm, EMA uzraudzīs visus jaunus datus par zāļu drošumu un vajadzības gadījumā atjauninās ieteikumus pacientiem un veselības aprūpes speciālistiem.

¹ Iepriekšējais ieteikums bija paredzēts veselības aprūpes speciālistiem reizi gadā pārbaudīt, vai nav vēža pazīmju.



Informācija pacientiem

- EMA veiktajā pārskatīšanā netika konstatēti pierādījumi, ka *Zynteglo* vīrusa vektors izraisa asins vēzi, kas zināms kā akūta mieloleikoze (AML).
- Tāpat kā iepriekš, turpinās lietot *Zynteglo*. Tomēr jūsu veselības aprūpes speciālists var jūs aicināt veikt vēža skrīningu biežāk nekā reizi gadā.
- Ja jums rodas jebkādi jautājumi, vaicājiēt savam veselības aprūpes speciālistam.

Informācija veselības aprūpes speciālistiem

- EMA pārskatā ir secināts, ka nav pierādījumu, ka *Zynteglo* vīrusa vektors izraisa AML.
- Lai gan diviem pacientiem, kuri saņēma to pašu vīrusa vektoru citās zālēs, bija AML, ir ticamāki skaidrojumi nekā insercijas onkoģenēze, tostarp saņemtā kondicionējošā terapija un augstāks hematoloģiskā vēža risks cilvēkiem ar sirpjveida šūnu slimību.
- Veselības aprūpes speciālistiem skaidri jāinformē pacienti, kuri saņem *Zynteglo*, par paaugstinātu asins vēža risku no kondicionējošās terapijas zālēm.
- Veselības aprūpes speciālistiem jāturpina novērot vēža pacientus. EMA ir atjauninājusi savu ieteikumu par vēža skrīningu, grozot prasību no vienreiz gadā uz **vismaz** reizi gadā.

Papildinformācija par zālēm

Zynteglo ir vienreizlietojamas zāles asins slimības, ko sauc par beta-talasēmiju, ārstēšanai pacientiem no 12 gadu vecuma, kuriem nepieciešamas regulāras asins transfūzijas.

Zynteglo pagatavošanai no pacienta asinīm ņemtās cilmes šūnas tiek modificētas ar vīrusu, kas pārnes šūnās beta-globīna gēna funkcionējošas kopijas. Kad pacients saņem atpakaļ šīs modificētās šūnas, tās ar asins plūsmu tiek nogādātas kaulu smadzenēs, kur tās sāk ražot veselās sarkanās asins šūnas, kas sintezē beta-globīnu. Sagaidāms, ka *Zynteglo* iedarbība ilgst visu pacienta mūžu.

Zynteglo 2019. gada maijā tika izsniegta reģistrācijas apliecība ar nosacījumiem. Reģistrācija ar nosacījumiem nozīmē, ka ir sagaidāmi papildu dati par šīm zālēm, ko uzņēmums iesniegs. EMA regulāri pārskata pieejamo jauno informāciju.

Vairāk par procedūru

Zynteglo pārskatīšanu sāka 2021. gada 18. februārī pēc Eiropas Komisijas pieprasījuma saskaņā ar [Regulas \(EK\) Nr. 726/2004 20. pantu](#).

Vispirms pārskatīšanu veica Farmakovigilances riska vērtēšanas komiteja (PRAC), kas ir par cilvēkiem paredzēto zāļu drošuma jautājumu izvērtēšanu atbildīga komiteja, kura cieši sadarbojās ar [Uzlaboto terapiju komitejas \(CAT\)](#) ekspertiem.

PRAC ieteikumi tika nosūtīti CAT, kas saskaņā ar PRAC ieteikumiem 2021. gada 16. jūlijā pieņēma atzinuma projektu, un pēc tam Cilvēkiem paredzēto zāļu komitejai (CHMP), kura ir atbildīga par jautājumiem saistībā ar cilvēkiem paredzētām zālēm. CHMP 2021. gada 22. jūlijā pieņēma aģentūras galīgo atzinumu, ņemot vērā CAT atzinuma projektu. CHMP atzinums tika nosūtīts Eiropas Komisijai, kura 2021. gada 16. septembrī izdeva visās ES dalībvalstīs juridiski saistošu galīgo lēmumu.