



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Casgevy (exagamglogene autotemcel)

Ħarsa ġenerali lejn Casgevy u għalfejn huwa awtorizzat fl-UE

X'inhu Casgevy u għal xiex jintuża?

Casgevy huwa mediċina li tintuża biex tittratta disturbi fid-demm magħrufa bħala beta talassemija u marda taċ-ċelluli tad-demmm sura ta' mingel f'pazjenti minn 12 snin 'il fuq.

Għall-beta talassemija, Casgevy jintuża f'pazjenti li jeħtieġu trasfużjonijiet tad-demmm regolari. Il-pazjenti b'din il-kundizzjoni ma jipproduċux biżżejjed emoglobina, il-proteina fiċ-ċelluli ħomor tad-demmm li ġgħorr l-ossiġnu mal-ġisem. B'riżultat ta' dan, dawn il-pazjenti jkollhom livelli baxxi ta' ċelluli ħomor tad-demmm u jeħtieġu trasfużjonijiet tad-demmm regolari.

Għall-marda taċ-ċelluli tad-demmm sura ta' mingel, Casgevy jintuża f'pazjenti b'marda severa u kriżijiet rikorrenti ta' wġiġh. Il-pazjenti b'din il-kundizzjoni jkollhom forma anormali ta' emoglobina li twassal biex iċ-ċelluli ħomor tad-demmm isiru riġidi u jwaħħlu u jinbidlu minn forma ta' diska għal forma ta' nofs qamar (bħal mingel). Dawn iċ-ċellouli jistgħu jimblokkaw il-vażi, u jikkawżaw kriżijiet bl-uġiġh li jaffettwaw is-sider, l-addome (iż-żaqq) u partijiet oħra tal-ġisem.

Il-beta talassemija u l-marda taċ-ċelluli tad-demmm sura ta' mingel huma rari, u Casgevy ġie kklassifikat bħala "mediċina orfni" (mediċina li tintuża f'mard rari). Aktar informazzjoni dwar il-klassifikazzjonijiet orfni tista' tinstab fuq is-sit web tal-Aġenzija Ewropea għall-Mediċini ([beta talassemija](#): is-17 ta' Ottubru 2019; [marda taċ-ċelluli tad-demmm sura ta' mingel](#): id-9 ta' Jannar 2020)

Casgevy fih bħala s-sustanza attiva tiegħu ċelluli staminali ġenetikament modifikati (ċelluli li jistgħu jiżviluppaw fiċ-ċelluli tad-demmm) meħuda mid-demmm tal-pazjent stess. Jintuża meta t-trattamenti taċ-ċelluli staminali jkunx xierqa u ma jkunx hemm donaturi xierqa taċ-ċelluli staminali disponibbli.

Kif jintuża Casgevy?

Casgevy jista' jinkiseb biss b'riċetta ta' tabib u għandu jingħata f'ċentru approvat minn tabib imħarreġ fl-għoti ta' din il-mediċina u li għandu esperjenza fit-trapjant taċ-ċelluli staminali u fit-trattament ta' disturbi fid-demmm li jaffettwaw l-emoglobina.

Casgevy huwa magħmul individwalment għal kull pazjent minn ċelluli staminali miġbura mid-demmm tiegħu, u għandu jingħata biss lill-pazjent li għalih ikun sar. Jingħata bħala infużjoni ta' doża waħda (drupp) fil-vina u d-doża tiddependi mill-piż tal-ġisem tal-pazjent.

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



Qabel ma jingħata Casgevy, il-pazjent jirċievi trattament tal-kimoterapija kundizzjonata biex jitneħhew iċ-ċelluli mill-mudullun tiegħu.

Għal iktar informazzjoni dwar l-użu ta' Casgevy, ara l-fuljett ta' tagħrif jew ikkuntattja lill-fornitur tal-kura tas-saħħa tiegħek.

Kif jaħdem Casgevy?

Biex isir Casgevy, iċ-ċelluli staminali jiġu editjati (mit-teknoloġija CRISPR/Cas9) sabiex jipproduċu aktar emoglobina fetali, tip ta' emoglobina li tinsab prinċipalment fit-trabi fil-ġuf iżda li hija preżenti wkoll f'ammonti żgħar fl-adulti. Minħabba li l-emoglobina fetali tista' tikkumpensa għan-nuqqas ta' emoglobina adulta normali, iċ-ċelluli staminali modifikati, meta jiġu injettati fil-pazjenti, jistgħu jgħollu l-livelli taċ-ċelluli ħomor tad-demem f'pazjenti b'beta-talassemija u jipprevjenu krizijiet ta' wġiġh f'pazjenti b'marda taċ-ċelluli tad-demem sura ta' mingel.

X'inhuma l-benefiċċji ta' Casgevy li ħarġu mill-istudji?

L-effetti ta' Casgevy huma bbażati fuq riżultati interim ta' żewġ studji li għadhom għaddejjin. L-istudji ma qabblux Casgevy ma' medicina oħra jew ma' placebo.

Fi studju wieħed fuq pazjenti b'talassemija ta' bejn it-12-il sena u l-35 sena fejn il-medicina ngħatat wara trattament ta' kimoterapija ta' kondizzjonament, 39 pazjent minn 42 żammew livelli ta' emoglobina oghla minn 9 g/dL mingħajr il-ħtieġa ta' trasfużjonijiet tad-demem għal mill-inqas 12-il xahar konsekuttiv.

Casgevy intwera wkoll li huwa effettiv fil-prevenzjoni ta' krizijiet taċ-ċelluli tad-demem sura ta' mingel li jikkawżaw uġiġh. Fi studju fuq pazjenti bil-marda taċ-ċelluli tad-demem sura ta' mingel severa li għandhom bejn it-12-il sena u l-35 sena, 28 minn 29 pazjent ma esperjenzaw l-ebda krizi bl-uġiġh għal mill-inqas 12-il xahar konsekuttiv meta ngħataw trattament b'Casgevy wara kimoterapija ta' kundizzjonament. Ħadd mill-pazjenti (29 minn 29) ma kellhom bżonn rikoveru l-isptar minħabba krizijiet bl-uġiġh għal mill-inqas 12-il xahar konsekuttiv.

X'inhuma r-riskji assoċjati ma' Casgevy?

Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji u r-restrizzjonijiet b'Casgevy, ara l-fuljett ta' tagħrif.

L-effetti sekondarji l-aktar komuni b'Casgevy (li jistgħu jaffettwaw aktar minn persuna 1 minn kull 10) jinkludu wġiġh ta' ras, nawżja (dardir) u wġiġh fil-muskoli u fl-għadam.

It-tobba għandhom jikkunsidraw jekk il-pazjenti jistgħux jingħataw it-trattamenti ta' qabel meħtieġa qabel Casgevy.

Għaliex Casgevy ġie awtorizzat fl-UE?

Il-beta talassemija li teħtieġ trasfużjonijiet u marda taċ-ċelluli tad-demem sura ta' mingel huma kundizzjonijiet serji li għalihom l-għażliet ta' trattament huma limitati. Għalkemm l-istudji b'Casgevy kienu żgħar u kien hemm incertezzi assoċjati mat-tfassil tagħhom, huma wrew li trattament ta' darba jista' jnaqqas il-ħtieġa għal trasfużjonijiet taċ-ċelluli ħomor tad-demem f'pazjenti bil-beta-talassemija u jnaqqas in-numru ta' krizijiet bl-uġiġh f'pazjenti bil-marda taċ-ċelluli tad-demem sura ta' mingel.

F'termini ta' sigurtà, it-trattament kien ġeneralment ittollerat tajjeb u l-effetti sekondarji kienu prinċipalment minħabba l-kimoterapija ta' kondizzjonament. Jista' jkun hemm riskju teoretiku ta' kanċer ikkawżat minn bidliet mhux intenzjonati fil-materjal ġenetiku, għalkemm ma ġewx osservati każijiet b'hal dawn s'issa. Hemm ukoll riskju potenzjali ta' emorragija peress li l-medicina tista'

tikkawża tnaqqis fl-għadd ta' pjastrini (komponenti li jgħinu biex id-demm jagħqad). Hemm miżuri fis-seħħ għall-monitoraġġ ta' avvenimenti bħal dawn permezz ta' studju ta' 15-il sena bbażat fuq ir-registru.

L-Aġenzija Ewropea għall-Mediċini ddeċidiet li l-benefiċċji ta' Casgevy huma akbar mir-riskji tiegħu u li jista' jiġi awtorizzat għall-użu fl-UE. Casgevy ingħata "awtorizzazzjoni kkundizzjonata". Dan ifisser li l-kumpanija se jkollha tipprovdi evidenza addizzjonali wara l-awtorizzazzjoni.

L-awtorizzazzjoni kkundizzjonata tingħata fuq il-bażi ta' *data* inqas komprensiva minn dik li normalment tkun meħtieġa. Din tingħata għal mediċini li jissodisfaw ħtieġa medika mhux issodisfata biex jittrattaw mard serju u meta l-benefiċċji li jkunu disponibbli aktar kmieni jkunu akbar minn kwalunkwe riskju assoċjat mal-użu tal-mediċini waqt l-istennija għal aktar evidenza. Kull sena, l-Aġenzija se tirreżamina kull informazzjoni ġdida li ssir disponibbli sakemm id-*data* ssir komprensiva u din il-ħarsa ġenerali tiġi aġġornata kif meħtieġ.

X'miżuri qegħdin jittieħdu biex jiġi żgurat l-użu sigur u effettiv ta' Casgevy?

Il-kumpanija li tqiegħed Casgevy fis-suq se tipprovdi r-riżultati ta' studji li għadhom għaddejjin biex tivvaluta aktar l-effikaċja u s-sigurtà tal-mediċina. Il-kumpanija se tipprovdi wkoll materjal edukattiv għall-professjonisti tal-kura tas-saħħa li mistennija jużaw il-mediċina b'informazzjoni dwar is-sigurtà tagħha, inkluż ir-riskju potenzjali ta' kanċer u l-ħtieġa li jiġu mmonitorjati l-livelli ta' pjastrini tal-pazjent, u kif il-mediċina għandha tingħata. Il-pazjenti se jirċievu wkoll gwida u kard li għandhom iġorruhom magħhom.

Fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u fil-fuljett ta' tagħrif ġew inklużi wkoll ir-rakkomandazzjonijiet u l-prekawzjonijiet li għandhom ikunu segwiti mill-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa u mill-pazjenti għall-użu sigur u effettiv ta' Casgevy.

Bħal fil-każ tal-mediċini kollha, id-*data* dwar l-użu ta' Casgevy hija ssorveljata kontinwament. L-effetti sekondarji ssuspettati rrapportati b'Casgevy huma evalwati bir-reqqa u kull azzjoni meħtieġa hi meħhuda biex tippoteġi lill-pazjenti.

Informazzjoni oħra dwar Casgevy

Aktar informazzjoni dwar Casgevy tinstab fis-sit web tal-Aġenzija:

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