



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/205979/2019  
EMA/H/C/003691

## Zynteglo (*ċelloli awtologi CD34+ li jikkodifikaw il-ġenital-globina $\beta$ A-T87Q*)

Ħarsa ġenerali lejn Zynteglo u għalfejn huwa awtorizzat fl-UE

### X'inhu Zynteglo u għal xiex jintuża?

Zynteglo huwa medicina li tintuża għall-kura ta' disturb fid-demem magħruf bħala beta talassemija f'pazjenti li għandhom 12 'il sena jew aktar u li jeħtieġu trasfużjonijiet regolari tad-demem.

Il-persuni b'din il-kundizzjoni ġenetika ma jistgħux jipproduċu biżżejjed beta-globina, komponent tal-emoglobina, il-proteina fiċ-ċelloli ħomor tad-demem li ġgħorr l-ossigenu mal-ġisem. B'riżultat ta' dan, dawn il-pazjenti jkollhom livelli baxxi ta' ċelloli ħomor tad-demem u jeħtieġu trasfużjonijiet tad-demem regolari.

Zynteglo jintuża f'pazjenti li ma jkunux kompletament neqsin mill-beta-globina u li huma eliġibbli għal trapjant taċ-ċelloli staminali iżda li ma għandhomx donatur korrispondenti relatat.

Il-beta talassemija hija rari, u Zynteglo ġie denominat bħala "medicina orfni" (medicina li tintuża f'mard rari) fl-24 ta' Jannar 2013. Aktar informazzjoni dwar id-denominazzjoni orfni tista' tinstab hawn: [ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu3121091](http://ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu3121091).

Zynteglo fih bħala s-sustanza attiva tiegħu ċelloli staminali meħuda mill-pazjenti li jkunu ġew ġenetikament modifikati biex jinkludu ġene li taħdem għall-beta-globina.

### Kif jintuża Zynteglo?

Zynteglo huma magħmul individwalment għal kull pazjent minn ċelloli staminali miġbura mid-demem tiegħu, u għandu jingħata biss lill-pazjent li għalih ikun sar. Jingħata bħala infużjoni (dripp) fil-vina u d-doża tiddependi mill-piż tal-ġisem tal-pazjent.

Qabel ma jingħata Zynteglo, il-pazjent jirċievi kura tal-kimoterapija kundizzjonata biex jitneħħew iċ-ċelloli mill-mudullun tagħhom.

Zynteglo jista' jinkiseb biss b'riċetta ta' tabib u għandu jingħata biss f'ċentru approvat minn tabib b'esperjenza fit-trapjanti taċ-ċelloli staminali u fil-kura tal-beta talassemija. Għal iktar informazzjoni dwar l-użu ta' Zynteglo, ara l-fuljett ta' tagħrif jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispizjar tiegħek.



## Kif jaħdem Zynteglo?

Biex isir Zynteglo, iċ-ċelloli staminali meħuda mid-demm tal-pazjent jiġu modifikati minn virus li jgħorr kopji li jaħdmu tal-gene beta-globina fiċ-ċelloli. Meta dawn iċ-ċelloli modifikati jingħataw lura lill-pazjent, dawn jingarru fiċ-ċirkolazzjoni tad-demm lejn il-mudullun fejn jibdedw jipproduċu ċelloli ħomor tad-demm b'saħħithom li jipproduċu l-beta-globina. L-effetti ta' Zynteglo huma mistennija li jdumu għall-ħajja kollha tal-pazjent.

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

Zynteglo ntwerha li kien effettiv fit-tnaqqis tal-ħtieġa għal trasfużjoni tad-demm f'zewġ studji ewlenin f'pazjenti bil-beta talassemija li kienu jeħtieġu trasfużjonijiet regolari tad-demm. F'dawn l-istudji minn 14-il pazjent li ma kinux kompletament neqsin mill-beta-globina u li ngħataw Zynteglo, 11 minnhom kellhom livelli għoljin biżżejjed ta' ċelloli ħomor tad-demm u għaldaqstant ma kinux jeħtieġu trasfużjonijiet tad-demm għal tal-inqas sena wara l-kura.

## X'inhuma r-riskji assoċjati ma' Zynteglo?

S'issa għadd żgħir ta' pazjenti ġew ikkurati b'Zynteglo, u l-effett sekondarju l-aktar importanti osservat huwa tromboċitopenja (livelli baxxi tad-demm tal-pjastrini, komponenti li jgħinu lid-demm biex jagħqad).

Zynteglo ma għandux jintuża f'nisa tqal jew li qegħdin iredgħu, u f'pazjenti li fil-passat ingħataw kura ta' terapija ġenetika (medicina li twassal il-ġeni). It-tobba għandhom jikkunsidraw jekk il-pazjenti jistgħux jingħataw il-kura minn qabel meħtieġa qabel Zynteglo.

Għal-lista sħiħa tar-restrizzjonijiet, ara l-fuljett ta' tagħrif.

## Għaliex Zynteglo ġie awtorizzat fl-UE?

Il-beta talassemija dipendenti mit-trasfużjoni hija kundizzjoni severa li għaliha l-għażliet ta' kura huma limitati. L-istudji juru li b'kura ta' darba b'Zynteglo bosta pazjenti ma jibqgħux jeħtieġu trasfużjonijiet tad-demm biex iżidu l-livelli ta' ċelloli ħomor tad-demm li jaħdmu. Dan ifisser li l-pazjenti jistgħu jevitaw l-akkumulazzjoni eċċessiva ta' ħadid li sseħħ bi trasfużjonijiet regolari u li fiha nnifisha teħtieġ il-kura.

Fir-rigward tas-sigurtà, minħabba li Zynteglo huwa prodott bl-użu ta' virus, jista' jkun hemm ir-riskju teoretiku ta' kancer ikkawżat minn bidliet mhux intenzjonati fil-materjal ġenetiku, għalkemm ma ġewx irrapportati każijiet bħal dawn s'issa. Hemm ukoll ir-riskju potenzjali ta' fsada minħabba li l-medicina tista' tikkawża tnaqqis fil-pjastrini. Madankollu, hemm miżuri fis-seħħ biex dawn l-avvenimenti jiġu mmonitortati permezz ta' registru ta' pazjenti u studju fit-tul biex jiġu vvalutati l-eżiti fit-tul tal-pazjenti.

Għalkemm l-informazzjoni dwar is-sigurtà tal-medicina hija limitata minħabba l-għadd żgħir ta' pazjenti kkurati s'issa u n-nuqqas ta' data fit-tul, l-Aġenzija Ewropea għall-Medicini ddeċidiet li l-benefiċċji ta' Zynteglo huma akbar mir-riskji tiegħu u li jista' jiġi awtorizzat għall-użu fl-UE.

Zynteglo ngħata "awtorizzazzjoni kondizzjonali". Dan ifisser li għad hemm iktar evidenza x'tingħata dwar il-medicina, li l-kumpanija hija mitluba tipprova. Kull sena, l-Aġenzija Ewropea għall-Medicini sejra tirrieżamina kull informazzjoni ġdida li ssir disponibbli u din il-ħarsa ġenerali tiġi aġġornata kif meħtieġ.

## **Liema informazzjoni ghadha mistennija għal Zynteglo?**

Minhabba li Zynteglo ngħata awtorizzazzjoni kondizzjonali, il-kumpanija li tqiegħed Zynteglo fis-suq se ttiprovdi riżultati ta' studji li għadhom għaddejnin biex tkompli tivvaluta l-effikaċja u s-sigurtà tal-mediċina.

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

Il-kumpanija li tqiegħed Zynteglo fis-suq se ttiprovdi materjali edukattivi għall-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa mistennija li jużaw il-mediċina b'informazzjoni dwar is-sigurtà tiegħu, inklużi r-riskji potenzjali tal-kanċer u tal-fsada, u kif għandu jingħata. Il-pazjenti se jirċievu wkoll gwida u kard li għandhom iġorruhom magħhom. Barra minn hekk, il-kumpanija se tiżgura li l-mediċina tiġi fornuta biss minn ċentri approvati.

Il-kumpanija se ttiprovdi wkoll data minn registru ta' pazjenti kkurati b'Zynteglo sabiex jiġu studjati s-sigurtà u l-effikaċja tiegħu fit-tul, kif ukoll aktar data dwar it-testijiet użati fil-manifattura tal-mediċina sabiex tiġi żgurata l-kwalità tagħha.

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' Zynteglo.

Bħal fil-każ tal-mediċini kollha, id-data dwar l-użu ta' Zynteglo hija ssorveljata kontinwament. L-effetti sekondarji rrapportati b'Zynteglo huma evalwati bir-reqqa u tittieħed kull azzjoni meħtieġa biex tiproteġi lill-pazjenti.

## **Informazzjoni oħra dwar Zynteglo**

Aktar informazzjoni dwar Zynteglo tinstab fis-sit elettroniku tal-Aġenzija: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zynteglo](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zynteglo).