



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/116144/2024
EMA/H/C/00462

Abecma (*idecabtagene vicleucel*)

Een overzicht van Abecma en waarom het is geregistreerd in de EU

Wat is Abecma en wanneer wordt het voorgeschreven?

Abecma is een geneesmiddel dat wordt gebruikt voor de behandeling van volwassenen met multipel myeloom (kanker van het beenmerg), bij wie de kanker is teruggekomen (gerecidiveerd) en niet heeft gereageerd op de behandeling (refractair). Het middel wordt gebruikt bij volwassenen die ten minste drie eerdere therapieën hebben ondergaan, waaronder behandeling met een immunomodulerend middel, een proteasoomremmer en een anti-CD38-antilichaam, en bij wie de ziekte sinds de laatste behandeling is verergerd.

Abecma is een geavanceerd geneesmiddel voor gentherapie. Dit type geneesmiddel werkt door genen aan het lichaam toe te dienen.

Multipel myeloom is zeldzaam, en Abecma werd op 20 april 2017 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame aandoeningen). Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel vindt u hier: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu3171863>

Abecma bevat de werkzame stof idecabtagene vicleucel, die bestaat uit genetisch gemodificeerde T-cellen (een type witte bloedcellen).

Hoe wordt Abecma gebruikt?

Abecma wordt bereid met behulp van lichaamseigen T-cellen van de patiënt, die uit het bloed worden geëxtraheerd en in het laboratorium genetisch worden gemodificeerd. Abecma mag alleen worden toegediend aan de patiënt wiens cellen zijn gebruikt om het geneesmiddel te bereiden.

Het middel wordt toegediend als een enkelvoudige infusie (indruppeling) in een ader. Voordat de patiënt Abecma toegediend krijgt, dient hij/zij een korte chemokuur te ondergaan om zijn/haar bestaande witte bloedcellen te verwijderen. Vlak voor de infusie krijgen patiënten paracetamol en een antihistaminicum om het risico op reacties op de infusie te verminderen.

Het geneesmiddel tocilizumab en noodapparatuur moeten voorhanden zijn voor het geval dat de patiënt de potentieel ernstige bijwerking cytokine-release-syndroom (CRS; een potentieel levensbedreigende overactivatie van het immuunsysteem met koorts, kortademigheid, lage bloeddruk en hoofdpijn) krijgt.

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



Patiënten dienen na de behandeling gedurende tien dagen nauwlettend op bijwerkingen te worden gecontroleerd. Patiënten krijgen het advies om na de behandeling gedurende ten minste vier weken in de buurt van een gespecialiseerd ziekenhuis te blijven.

Zie de bijsluiter of neem contact op met uw zorgverlener voor meer informatie over het gebruik van Abecma.

Hoe werkt Abecma?

Abecma bevat de eigen T-cellen van de patiënt die in het laboratorium zodanig genetisch zijn gemodificeerd dat ze een eiwit aanmaken met de naam chimere antigeenreceptor (CAR). CAR kan zich op het oppervlak van kankercellen hechten aan het eiwit B-cel-maturatie-antigeen (BCMA).

Wanneer Abecma aan de patiënt wordt toegediend, hechten de gemodificeerde T-cellen zich aan BCMA en doden ze vervolgens kankercellen, wat helpt om de kanker uit het lichaam te verwijderen.

Welke voordelen bleek Abecma tijdens de studies te hebben?

Uit een hoofdstudie onder 140 patiënten met multipel myeloom dat niet had gereageerd op ten minste drie eerdere behandelingen (refractair myeloom) en was teruggekomen (gerecidiveerd myeloom), bleek dat Abecma effectief is bij het doen verwijderen van de kanker. Abecma werd in de studie niet vergeleken met andere geneesmiddelen of placebo (een schijnbehandeling). In totaal had 30 % een volledige respons (wat betekent dat ze geen tekenen van de kanker meer vertoonden) en had 67 % ten minste een partiële respons na behandeling met Abecma.

In een aanvullende studie werd gekeken naar 386 patiënten met multipel myeloom die ten minste twee eerdere behandelingen hadden ondergaan. In deze studie werd Abecma vergeleken met andere geneesmiddelen voor de behandeling van multipel myeloom (standaardbehandelingen). Patiënten die Abecma kregen, leefden gemiddeld 13,8 maanden zonder dat hun ziekte verergerde, tegenover 4,4 maanden voor patiënten die een standaardbehandeling kregen. Over het geheel genomen reageerde 71 % van de patiënten op behandeling met Abecma, tegenover 42 % van de patiënten die een standaardbehandeling kregen. De respons hield gemiddeld 16,5 maanden aan bij gebruik van Abecma, tegenover 9,7 maanden bij gebruik van standaardbehandelingen.

Welke risico's houdt het gebruik van Abecma in?

Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van alle bijwerkingen van en beperkende voorwaarden voor het gebruik van Abecma.

De meest voorkomende bijwerkingen (die bij meer dan 1 op de 5 personen kunnen optreden) zijn neutropenie (laag aantal neutrofielen, een type witte bloedcel), CRS, anemie (laag aantal rode bloedcellen), trombocytopenie (laag aantal bloedplaatjes, bestanddelen die het bloed helpen stollen), infecties, hypofosfatemie (laag fosfaatgehalte in het bloed), diarree, leukopenie (laag aantal witte bloedcellen), hypokaliëmie (laag kaliumgehalte in het bloed), vermoeidheid, misselijkheid, lymfopenie (laag aantal lymfocyten in het bloed), koorts, virusinfecties, hoofdpijn, hypocalciëmie (laag calciumgehalte in het bloed), hypomagnesiëmie (laag magnesiumgehalte in het bloed) en gewrichtspijn.

De meest voorkomende ernstige bijwerkingen zijn CRS (10 %) en pneumonie (longontsteking; 7 %).

Abecma mag niet worden toegediend aan mensen die geen chemotherapie kunnen ondergaan om hun bestaande witte bloedcellen te verwijderen.

Waarom is Abecma geregistreerd in de EU?

Met Abecma werden klinisch betekenisvolle responspercentages bereikt bij patiënten met multipel myeloom bij wie de kanker was teruggekomen en niet had gereageerd op de behandeling. Patiënten die Abecma toegediend kregen, leefden ook langer zonder dat hun ziekte verergerde, vergeleken met patiënten die de standaardbehandeling kregen. Er kunnen ernstige bijwerkingen (met name CRS) optreden; deze zijn echter beheersbaar als passende maatregelen worden genomen (zie hieronder). Het Europees Geneesmiddelenbureau heeft geconcludeerd dat de voordelen van Abecma groter zijn dan de risico's en dat dit middel geregistreerd kan worden voor gebruik in de EU.

Aan Abecma werd aanvankelijk 'voorwaardelijke registratie' verleend, omdat er nog meer informatie over het geneesmiddel zou volgen. Aangezien het bedrijf de noodzakelijke aanvullende informatie heeft verstrekt, werd de voorwaardelijke registratie omgezet in een volwaardige registratie.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Abecma te waarborgen?

Het bedrijf dat Abecma in de handel brengt, moet ervoor zorgen dat ziekenhuizen waar het geneesmiddel wordt toegediend, over passende expertise, faciliteiten en opleiding beschikken. Tocilizumab moet voorhanden zijn in geval van CRS. Daarnaast zal het bedrijf een voorlichtingsprogramma over het herkennen en behandelen van CRS aanbieden voor professionele zorgverleners die betrokken zijn bij de behandeling van patiënten. Het bedrijf moet ook patiëntenkaarten verstrekken met informatie over CRS en ernstige bijwerkingen die van invloed zijn op het zenuwstelsel, en waarop te lezen is wanneer en waar hulp moet worden ingeroepen als deze bijwerkingen zich voordoen. Deze kaart wijst professionele zorgverleners er ook op dat de patiënt Abecma krijgt toegediend.

Het bedrijf moet ook een studie uitvoeren om meer informatie over de veiligheid en werkzaamheid van Abecma op lange termijn te verkrijgen.

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Abecma zijn ook opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Zoals voor alle geneesmiddelen worden gegevens over het gebruik van Abecma continu gevolgd. Vermoedelijke bijwerkingen waargenomen voor Abecma worden nauwkeurig geëvalueerd en indien nodig worden maatregelen getroffen om patiënten te beschermen.

Overige informatie over Abecma

Op 18 augustus 2021 is een in de hele EU geldige voorwaardelijke vergunning voor het in de handel brengen van Abecma verleend. Deze is op 19 maart 2024 omgezet in een volwaardige handelsvergunning.

Meer informatie over Abecma is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/abecma

Dit overzicht is voor het laatst bijgewerkt in 03-2024.