



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zemcelpro (*dorocubicel/niet-geëxpandeerde CD34⁺-cellen*)

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

Wat is Zemcelpro en wanneer wordt het voorgeschreven?

Zemcelpro is een stamcelgeneesmiddel dat wordt gebruikt voor de behandeling van volwassenen met hematologische maligniteiten (bloedcelkanker) die een allogene hematopoëtische stamceltransplantatie (allo-HSCT) nodig hebben en voor wie geen andere geschikte donorcellen beschikbaar zijn.

Allo-HSCT is een procedure waarbij het beenmerg van de patiënt (sponsachtig weefsel in de grote botten waar bloedcellen worden geproduceerd) wordt ontdaan van cellen, die vervolgens worden vervangen door cellen van een gematchte donor; de getransplanteerde cellen vermenigvuldigen zich en ontwikkelen zich tot gezonde gespecialiseerde bloed- en immuuncellen. Zemcelpro wordt toegediend nadat patiënten een conditionerende (voorbereidende) behandeling met geneesmiddelen tegen kanker hebben gekregen om cellen uit het beenmerg te verwijderen.

HSCT is een zeldzame procedure, en Zemcelpro werd op 22 april 2020 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame aandoeningen) voor gebruik bij patiënten die een HSCT nodig hebben. Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel vindt u op de [website](#) van het Europees Geneesmiddelenbureau.

Zemcelpro wordt specifiek voor elke patiënt gemaakt. Het bevat twee soorten stamcellen uit gedoneerd navelstrengbloed: dorocubicel (geëxpandeerde CD34⁺-cellen; geëxpandeerd betekent dat de cellen in het laboratorium zijn gekweekt en verveelvuldigd) en niet-geëxpandeerde CD34⁺-cellen.

Hoe wordt Zemcelpro gebruikt?

Zemcelpro is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar. Het middel moet worden toegediend in een gekwalificeerd transplantatiecentrum met expertise op het gebied van HSCT, door een arts met ervaring in de behandeling van bloedcelkanker.

Zemcelpro wordt eenmalig toegediend als enkelvoudige dosis, door infusie (indruppeling) in een ader. Een enkelvoudige dosis Zemcelpro bestaat uit 1 tot 4 infuuszakken met dorocubicel en 4 zakken met niet-geëxpandeerde CD34⁺-cellen.

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



Voor en na de behandeling met Zemcelpro krijgen patiënten andere geneesmiddelen toegediend om het risico op reacties in verband met de infusie te verminderen en transplantatiecomplicaties te voorkomen.

Raadpleeg de bijsluiter of neem contact op met uw arts voor meer informatie over het gebruik van Zemcelpro.

Hoe werkt Zemcelpro?

Zemcelpro wordt gebruikt voor de behandeling van patiënten met bloedkanker die een allo-HSCT nodig hebben en voor wie er geen andere geschikte donorcellen beschikbaar zijn.

Bij deze patiënten kunnen navelstrengbloedcellen worden gebruikt; bij sommige patiënten is echter geen geschikt navelstrengbloed beschikbaar vanwege een laag aantal stamcellen in het gedoneerde navelstrengbloed. Een laag aantal stamcellen in navelstrengbloed kan het 'engraftment'-proces vertragen (wanneer de getransplanteerde cellen beginnen te groeien en gezonde bloedcellen beginnen te produceren).

Bij Zemcelpro worden enkele van de navelstrengstamcellen gekweekt en in het laboratorium vermenigvuldigd. Deze worden vervolgens toegediend in combinatie met niet-geëxpandeerde cellen uit hetzelfde navelstrengbloed. De geëxpandeerde CD34⁺-cellen bevorderen voornamelijk de groei van gezonde bloedcellen, terwijl de niet-geëxpandeerde CD34⁻-cellen dit ondersteunen en ook helpen om eventueel resterende kankercellen te verwijderen. Na de infusie migreren de stamcellen van Zemcelpro naar het beenmerg, waar zij zich vermenigvuldigen, rijpen en zich ontwikkelen tot gezonde, gespecialiseerde bloed- en immuuncellen.

Welke voordelen bleek Zemcelpro tijdens de studies te hebben?

De voordelen van Zemcelpro werden aangetoond in twee hoofdstudies onder 25 patiënten met een hoog risico op leukemie of myelodysplasie (soorten bloedkanker) die een allo-HSCT nodig hadden en voor wie er geen andere geschikte donorcellen beschikbaar waren. In de lopende studies werd Zemcelpro niet met een andere behandeling vergeleken.

Uit de studies bleek dat de gemiddelde tijd die patiënten na toediening van Zemcelpro nodig hadden om neutrofielen-engraftment te bereiken (wanneer de getransplanteerde cellen beginnen te groeien en neutrofielen, een type witte bloedcellen, beginnen aan te maken) 20 dagen was. Op dag 42 hadden 21 van de 25 patiënten (84 %) neutrofielen-engraftment bereikt.

Daarnaast bereikten patiënten bloedplaatjes-engraftment (wanneer de getransplanteerde cellen beginnen te groeien en bloedplaatjes, bestanddelen die het bloed helpen stollen, beginnen aan te maken) na gemiddeld 40 dagen na toediening van Zemcelpro; op dag 100 hadden 17 van de 25 patiënten (68 %) bloedplaatjes-engraftment bereikt.

De bovenstaande resultaten wijzen erop dat de transplantatie succesvol was en dat er een begin gemaakt was met de aanmaak van nieuwe bloedcellen in het beenmerg.

Welke risico's houdt het gebruik van Zemcelpro in?

Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van de bijwerkingen van en beperkende voorwaarden voor Zemcelpro.

De meest voorkomende bijwerkingen van Zemcelpro (die bij meer dan 1 op de 10 personen kunnen optreden) zijn lymfopenie (laag aantal lymfocyten, een type witte bloedcel), infecties, anemie (laag aantal rode bloedcellen), neutropenie (laag aantal neutrofielen), trombocytopenie (laag aantal

bloedplaatjes), leukopenie (laag aantal witte bloedcellen), hypogammaglobulinemie (verlaagd aantal antilichamen in het bloed), febriele neutropenie (laag aantal neutrofielen met koorts), hypertensie (hoge bloeddruk), engraftment-syndroom (een complicatie van HSCT met symptomen zoals koorts, huiduitslag en andere ontstekingsreacties) en pneumonie (longontsteking). Acute graft-versus-host-ziekte (GvHD, waarbij donorcellen het lichaam kort na een transplantatie aanvallen) werd gemeld bij 60 % van de patiënten, en chronische GvHD (die meestal later ontstaat dan acute GvHD, binnen enkele weken tot maanden na een transplantatie) werd gemeld bij 16 % van de patiënten.

Bijwerkingen die tot de dood leidden, deden zich bij ongeveer 8 % van de patiënten die met Zemcelpro werden behandeld voor, en bestonden uit infecties, acute GvHD, longalveolaire bloedingen (een aandoening waarbij bloedingen optreden in de luchtaanval van de longen), pneumonitis (ontsteking in de longen, zoals idiopathisch pneumoniesyndroom en cryptogene organiserende pneumonie) en pulmonale hypertensie (hoge bloeddruk in de bloedvaten die de longen voeden).

Waarom is Zemcelpro geregistreerd in de EU?

Op het moment van goedkeuring vormde de behandeling van patiënten met bloedcelkanker die een HSCT nodig hadden en voor wie er geen andere soorten geschikte donorcellen beschikbaar waren, een klinische uitdaging. Deze patiënten hadden geen andere behandelopties en een minimale kans op herstel.

Op basis van de resultaten van een klein aantal patiënten in de lopende studies was het herstel van neutrofielen en bloedplaatjes na behandeling met Zemcelpro snel, robuust en aanhoudend, wat erop wijst dat deze patiënten baat kunnen hebben bij Zemcelpro. De veiligheid van Zemcelpro werd aanvaardbaar geacht bij deze patiënten die ten tijde van de goedkeuring geen andere behandelingsopties hadden.

Voor Zemcelpro is een voorwaardelijke vergunning voor gebruik in de EU verleend. Dit betekent dat het middel is toegelaten op basis van minder volledige gegevens dan gewoonlijk, omdat het voldoet aan een onvervulde medische behoefte. Het Europees Geneesmiddelenbureau is van mening dat het voordeel van het in een vroeger stadium verkrijgbaar zijn van het geneesmiddel groter is dan de risico's die gepaard gaan met het gebruik ervan in afwachting van verder bewijs.

Het bedrijf moet nadere gegevens over Zemcelpro overleggen. Het bedrijf moet de definitieve resultaten van de twee lopende hoofdstudies en van twee aanvullende studies met Zemcelpro indienen en gegevens overleggen van een andere studie op basis van een register van met Zemcelpro behandelde patiënten. Het Geneesmiddelenbureau zal jaarlijks eventuele nieuw beschikbare informatie beoordelen.

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

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

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

Overige informatie over Zemcelpro

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