



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/116145/2024
EMA/H/C/00462

Abecma (*idekabtagen wikleucel*)

Przegląd wiedzy na temat leku Abecma i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

Czym jest lek Abecma i w jakim celu się go stosuje

Abecma to lek stosowany w leczeniu osób dorosłych ze szpiczakiem mnogim (nowotworem szpiku kostnego), u których doszło do wznowy (nawrotu) nowotworu i który nie odpowiada na leczenie (jest oporny na leczenie). Lek Abecma stosuje się u osób dorosłych, które otrzymały wcześniej co najmniej dwa inne schematy leczenia, m.in. leczenie środkiem immunomodulującym, inhibitorem proteasomu i przeciwciałem przeciwko CD-38, i u których doszło do postępu choroby od czasu zakończenia ostatniej terapii.

Abecma jest lekiem terapii zaawansowanej, tzw. terapii genowej. Taki rodzaj leku działa przez wprowadzenie genów do organizmu.

Ze względu na to, że szpiczak mnogi jest chorobą rzadko występującą, w dniu 20 kwietnia 2017 r. lek Abecma uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach). Więcej informacji na temat przyznania statusu leku sierocznego można znaleźć tutaj:

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu3171863>

Substancją czynną zawartą w leku Abecma jest idekabtagen wikleucel, który składa się ze zmodyfikowanych genetycznie limfocytów T (rodzaju krwinek białych).

Jak stosować lek Abecma

Lek Abecma przygotowuje się z wykorzystaniem własnych limfocytów T pacjenta, które są wyodrębniane z krwi i modyfikowane genetycznie w laboratorium. Lek może być podawany wyłącznie tym pacjentom, których komórki wykorzystano do jego przygotowania.

Lek podaje się w jednorazowym wlewie dożylnym (kroplówce). Przed otrzymaniem leku Abecma pacjent powinien przyjąć krótki cykl chemioterapii, by usunąć obecne we krwi krwinki białe. Bezpośrednio przed wlewem pacjentom podaje się paracetamol i lek przeciwhistaminowy, które ograniczają występowanie reakcji na wlew.

Ze względu na możliwość wystąpienia potencjalnie poważnego działania niepożądanego — zespołu uwalniania cytokin (ang. *cytokine release syndrome*, CRS – mogącej zagrażać życiu nadmiernej reakcji

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



układu odpornościowego, przebiegającej z gorączką, dusznościami, niskim ciśnieniem krwi i bólem głowy), dostępny musi być lek o nazwie tocilizumab oraz sprzęt ratunkowy.

W ciągu 10 dni po podaniu leku pacjentów należy uważnie obserwować pod kątem wystąpienia działań niepożądanych. Zalecane jest, by pacjenci pozostawali w pobliżu wyspecjalizowanego szpitala przez co najmniej cztery tygodnie po podaniu leczenia.

Więcej informacji o sposobie stosowania leku Abecma znajduje się w Ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.

Jak działa lek Abecma

Lek Abecma zawiera własne limfocyty T pacjenta, które zostały zmodyfikowane genetycznie w laboratorium, tak by wytwarzały białko o nazwie chimericzny receptor antygenowy (ang. *chimeric antigen receptor*, CAR). Białko CAR przyłącza się do białka o nazwie antygen dojrzewania limfocytów B (ang. *B-cell maturation antigen*, BCMA) znajdującego się na powierzchni komórek nowotworowych.

Po podaniu pacjentowi leku Abecma zmodyfikowane limfocyty T przyłączają się do białka BCMA, a następnie zabijają komórki nowotworowe, pomagając w ten sposób usunąć nowotwór z organizmu.

Korzyści ze stosowania leku Abecma wykazane w badaniach

W badaniu głównym z udziałem 140 pacjentów ze szpiczakiem mnogim, który nie odpowiadał na co najmniej trzy wcześniejsze schematy leczenia (oporny na leczenie szpiczak mnogi) i który powrócił (nawrotowy szpiczak mnogi), wykazano, że lek Abecma jest skuteczny w usuwaniu nowotworu. W badaniu nie porównywano leku Abecma z innymi lekami ani z placebo (leczeniem pozorowanym). Po zastosowaniu leku Abecma całkowita odpowiedź (tj. brak utrzymujących się objawów nowotworu) wystąpiła ogółem u 30% pacjentów, a co najmniej częściowa odpowiedź — u 67% pacjentów.

W dodatkowym badaniu uczestniczyło 386 pacjentów ze szpiczakiem mnogim, którzy wcześniej otrzymali dwa inne schematy leczenia. W badaniu tym lek Abecma porównywano z innymi lekami stosowanymi w leczeniu szpiczaka mnogiego (standardowymi schematami leczenia). U pacjentów otrzymujących lek Abecma okres przeżycia bez postępu choroby wynosił średnio 13,8 miesiąca w porównaniu z 4,4 miesiąca w przypadku pacjentów otrzymujących leczenie zgodne ze standardowymi schematami. Na stosowanie leku Abecma odpowiedziało ogółem 71% pacjentów, w porównaniu z 42% pacjentów otrzymujących standardowe schematy leczenia. W przypadku leku Abecma odpowiedź utrzymywała się średnio 16,5 miesiąca, w porównaniu z 9,7 miesiąca w przypadku standardowych schematów leczenia.

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Abecma

Pełny wykaz działań niepożądanych i ograniczeń związanych ze stosowaniem leku Abecma znajduje się w Ulotce dla pacjenta.

Najczęstsze działania niepożądane (mogące wystąpić częściej niż u 1 na 5 pacjentów) to: neutropenia (niski poziom neutrofilów — rodzaju krwinek białych), CRS, niedokrwistość (niski poziom krwinek czerwonych), małopłytkowość (niski poziom płytek krwi — składnika krwi wspomagającego krzepnięcie), zakażenia, hipofosfatemia (niskie stężenie fosforu we krwi), biegunka, leukopenia (niski poziom krwinek białych), hipokaliemia (niski poziom potasu we krwi), zmęczenie, nudności (mdłości), limfopenia (niski poziom limfocytów), gorączka, zakażenia wirusowe, ból głowy, hipokalcemia (niski poziom wapnia we krwi), hipomagnezemia (niski poziom magnezu we krwi) oraz ból stawów.

Najczęstsze poważne działania niepożądane obejmują CRS (10%) i zapalenie płuc (zakażenie płuc, 7%).

Leku Abecma nie można podawać pacjentom, u których zastosowanie chemioterapii w celu usunięcia z krwi obecnych krwinek białych jest niemożliwe.

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Abecma w UE

W przypadku nawrotowego i opornego na leczenie szpiczaka mnogiego po zastosowaniu leku Abecma obserwowano znaczące klinicznie odsetki odpowiedzi pacjentów na leczenie. Okres przeżycia bez postępów choroby był także dłuższy w przypadku pacjentów otrzymujących lek Abecma w porównaniu z pacjentami otrzymującymi standardowe schematy leczenia. Potencjalnie mogą wystąpić poważne działania niepożądane, zwłaszcza CRS, ale ich kontrolowanie jest możliwe w przypadku zastosowania odpowiednich środków (patrz poniżej). Europejska Agencja Leków uznała, że korzyści płynące ze stosowania leku Abecma przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE.

Ponieważ lek Abecma pierwotnie otrzymał warunkowe pozwolenie na dopuszczenie do obrotu, oczekiwano, że zostaną zgromadzone dodatkowe dane na temat leku. Jako że firma przedłożyła dodatkowe wymagane informacje, pozwolenie zmieniono z warunkowego na bezwarunkowe.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Abecma

Firma, która wprowadza lek Abecma do obrotu, musi zapewnić, że szpitale, w których lek będzie podawany, mają odpowiednie doświadczenie, zaplecze i wyszkolenie. Na wypadek wystąpienia CRS musi być dostępny tocilizumab. Ponadto firma zapewni program edukacyjny dotyczący identyfikowania CRS i postępowania w jego przypadku, skierowany do pracowników medycznych uczestniczących w leczeniu pacjenta. Firma musi także przekazać karty dla pacjenta z informacjami o CRS i poważnych działaniach niepożądanych obejmujących układ nerwowy oraz o tym, kiedy i gdzie zgłosić się po pomoc, jeśli takie działania wystąpią. Karta będzie zawierała też informacje dla personelu medycznego o tym, że pacjent przyjmuje lek Abecma.

Firma musi ponadto przeprowadzić badanie, by uzyskać więcej informacji o długoterminowym bezpieczeństwie stosowania i skuteczności leku Abecma.

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Abecma w Charakterystyce Produktu Leczniczego i w Ulotce dla pacjenta zawarto również zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane o stosowaniu leku Abecma są stale monitorowane. Podejrzewane działania niepożądane leku Abecma są starannie oceniane i podejmowane są wszelkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje dotyczące leku Abecma

Lek Abecma otrzymał warunkowe pozwolenie na dopuszczenie do obrotu, ważne w całej UE od dnia 18 sierpnia 2021 r. W dniu 19 marca 2024 r. pozwolenie warunkowe zmieniono na standardowe pozwolenie na dopuszczenie do obrotu.

Dalsze informacje dotyczące leku Abecma znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/abecma

Data ostatniej aktualizacji: 03.2024.