



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/185914/2025
EMA/H/C/005907

Aucatzyl (*obekabtagen autoleucel*)

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

Czym jest lek Aucatzyl i w jakim celu się go stosuje

Aucatzyl jest lekiem stosowanym w leczeniu nowotworu krwi atakującego limfocyty B (rodzaj krwinek białych), nazywanego ostrą białaczką limfoblastyczną (ang. *acute lymphoblastic leukaemia*, ALL) z prekursorowych limfocytów B. Stosuje się go u osób dorosłych w wielu od 26 lat, u których nowotwór nie reagował na wcześniejsze leczenie lub powrócił po wcześniejszym leczeniu.

Substancją czynną zawartą w leku Aucatzyl jest obekabtagen autoleucel (składający się z genetycznie zmodyfikowanych krwinek białych).

Jak stosować lek Aucatzyl

Lek Aucatzyl musi być podawany w wykwalifikowanym ośrodku terapeutycznym przez lekarza mającego doświadczenie w leczeniu nowotworów krwi i przeszkolonego w stosowaniu tego leku u pacjentów.

Lek Aucatzyl przygotowuje się z wykorzystaniem własnych limfocytów T (rodzaju krwinek białych) pacjenta, które są wyodrębniane z krwi i modyfikowane genetycznie w laboratorium. Lek może być podawany wyłącznie tym pacjentom, których komórki wykorzystano do jego przygotowania. Przed otrzymaniem leku Aucatzyl pacjent powinien przyjąć krótki cykl chemioterapii, by usunąć własne krwinki białe. Lek Aucatzyl podaje się w dwóch wlewach dożylnych (kroplówkach) w dniach 1 i 10 leczenia. Bezpośrednio przed wlewem pacjentowi podaje się paracetamol i lek przeciwhistaminowy, które ograniczają występowanie reakcji związanych z wlewem.

Na wypadek wystąpienia u pacjenta poważnego działania niepożądanego o nazwie zespół uwalniania cytokin (CRS) — stanu, który potencjalnie zagraża życiu i może wywoływać gorączkę, wymioty, duszności, ból i niskie ciśnienie krwi (dalsze informacje podano poniżej) — dostępny musi być sprzęt ratunkowy i lek ratunkowy o nazwie tocilizumab lub odpowiedni lek alternatywny.

Pacjentów należy ściśle monitorować przez 14 dni po pierwszym wlewie pod kątem działań niepożądanych i zaleca się im pozostanie w pobliżu specjalistycznego szpitala przez co najmniej 4 tygodnie po leczeniu.

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



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

Jak działa lek Aucatzyl

Lek Aucatzyl zawiera własne limfocyty T pacjenta, które zostały zmodyfikowane genetycznie w laboratorium, tak by wytwarzały białko o nazwie chimeryczny receptor antygenowy (CAR). CAR jest w stanie przyłączać się do innego białka, nazywanego CD19, występującego na powierzchni zmienionych nowotworowo limfocytów B.

Po podaniu pacjentowi leku Aucatzyl zmodyfikowane limfocyty T przyłączają się do komórek nowotworowych i je zabijają — pomagają w ten sposób usunąć nowotwór z organizmu.

Korzyści ze stosowania leku Aucatzyl wykazane w badaniach

W badaniu głównym z udziałem 94 dorosłych pacjentów z ALL z prekursorowych limfocytów B, u których nowotwór nie odpowiadał na wcześniejsze leczenie bądź powrócił po jego podaniu, otrzymało lek Aucatzyl we wlewie. W badaniu tym leku Aucatzyl nie porównywano z żadnym innym leczeniem ani z placebo (leczeniem pozorowanym).

Spośród pacjentów, którzy otrzymali lek Aucatzyl, u około 77% (72 z 94) wystąpiła odpowiedź ogólna, co oznacza, że nie występowały u nich żadne objawy nowotworu, ale liczba krwinek mogła nie powrócić do wartości prawidłowych, a u 55% (52 z 94) wystąpiła odpowiedź wraz z powrotem parametrów morfologicznych krwi do wartości prawidłowych.

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Aucatzyl

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

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Aucatzyl (mogące wystąpić częściej niż u 1 na 10 pacjentów) to: CRS, zakażenia, ból, w tym ból mięśniowo-szkieletowy (ból mięśni i kości), gorączka, nudności (mdłości), biegunka, ból głowy, zmęczenie i krwawienie.

Niektóre działania niepożądane mogą być poważne. Najczęstsze z nich (mogące wystąpić częściej niż u 1 na 10 pacjentów) to zakażenia i gorączka neutropeniczna (niska liczba krwinek białych z towarzyszącą gorączką). Inne poważne działania niepożądane (mogące wystąpić u 1 na 10 pacjentów) to: zaburzenie neurologiczne o nazwie ICANS (zespół neurotoksyczności związanej z komórkami efektorowymi układu odpornościowego), CRS, posocznica (stan, w którym bakterie i ich toksyny krążą we krwi, co prowadzi do uszkodzenia narządów) i gorączka.

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Aucatzyl w UE

Badanie główne wykazało, że lek Aucatzyl jest skuteczny w leczeniu ALL z prekursorowych limfocytów B u osób dorosłych, u których nowotwór nie reagował na wcześniejsze leczenie lub powrócił po wcześniejszym leczeniu.

W badaniu nie porównywano leku Aucatzyl z innym lekiem przeciwnowotworowym ani z placebo. W momencie przeprowadzania oceny możliwości leczenia pacjentów w wieku powyżej 26 lat z ALL z prekursorowych limfocytów B były ograniczone. Dlatego uznano, że lek stanowi odpowiedź na niezaspokojoną potrzebę medyczną w tej grupie pacjentów.

Pod względem bezpieczeństwa stosowania w przypadku leku Aucatzyl występują pewne istotne działania niepożądane, które są zbliżone do działań innych leków z tej samej klasy i które uznaje się za

dopuszczalne z uwagi na to, że leczona choroba jest poważna. Głównymi działaniami niepożądanymi są zespół uwalniania cytokin (CRS), problemy neurologiczne (ICANS), niska liczba krwinek białych (leukopenia) i zakażenie, ale są one możliwe do opanowania dzięki ścisłej obserwacji pacjentów.

Lek Aucatzyl uzyskał warunkowe dopuszczenie do obrotu. Oznacza to, że lek został dopuszczony do obrotu na podstawie mniej wyczerpujących danych niż te, które są zwykle wymagane, ponieważ spełnia niezaspokojoną potrzebę medyczną. Europejska Agencja Leków uważa, że korzyści z wcześniejszego udostępnienia leku przewyższają ryzyko związane z jego stosowaniem w oczekiwaniu na dalsze dowody.

Firma musi dostarczyć więcej danych dotyczących leku Aucatzyl, w tym przedstawić wyniki dwóch badań dotyczących długoterminowego bezpieczeństwa stosowania i skuteczności leku. Co roku Agencja dokona przeglądu wszelkich nowych informacji, które będą dostępne.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Aucatzyl

Firma, która wprowadza lek Aucatzyl do obrotu, musi zapewnić, że szpitale, w których lek Aucatzyl będzie podawany, mają odpowiednie doświadczenie, zaplecze i wyszkolenie. Na wypadek wystąpienia u pacjentów CRS należy zapewnić dostępność tocilizumabu lub odpowiedniego leku alternatywnego. Firma musi dostarczyć materiały edukacyjne dla pracowników medycznych oraz kartę ostrzegawczą dla pacjentów z informacjami o możliwych działaniach niepożądanych, zwłaszcza CRS i ICANS.

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Aucatzyl 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 Aucatzyl są stale monitorowane. Podejrzewane działania niepożądane leku Aucatzyl są starannie oceniane i podejmowane są wszelkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje dotyczące leku Aucatzyl

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