



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/577381/2023  
EMA/H/C/005763

## Casgevy (eksagamglogen autotemcel)

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

### Czym jest lek Casgevy i w jakim celu się go stosuje

Casgevy jest lekiem stosowanym w leczeniu zaburzeń krwi znanych jako  $\beta$ -talasemia i niedokrwistość sierpowatokrwinkowa u pacjentów w wieku od 12 lat.

W leczeniu  $\beta$ -talasemii lek Casgevy stosuje się u pacjentów wymagających regularnych przetoczeń krwi. Pacjenci z tą chorobą nie wytwarzają wystarczającej ilości hemoglobiny – białka w czerwonych krwinkach, które rozprowadza tlen w organizmie. W rezultacie u tych pacjentów występuje niski poziom czerwonych krwinek i wymagają oni częstych przetoczeń krwi.

W leczeniu niedokrwistości sierpowatokrwinkowej lek Casgevy stosuje się u pacjentów z ciężką postacią choroby i nawracającymi bolesnymi przełomami. U pacjentów z tą chorobą występuje nieprawidłowa forma hemoglobiny, która powoduje, że czerwone krwinki stają się sztywne i lepkie, a ich kształt zmienia się z postaci dysku na półksiężyc (sierp). Komórki te mogą blokować naczynia krwionośne, powodując bolesne przełomy w klatce piersiowej, brzuchu i innych częściach ciała.

Ze względu na to, że  $\beta$ -talasemia i niedokrwistość sierpowatokrwinkowa są chorobami rzadko występującymi, lek Casgevy uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach). Więcej informacji na temat przyznania statusu leku sierociego można znaleźć na stronie internetowej EMA ( [\$\beta\$ -talasemia](#)): 17 października 2019 r.; [niedokrwistość sierpowatokrwinkowa](#): 9 stycznia 2020 r.)

Substancją czynną zawartą w leku Casgevy są genetycznie zmodyfikowane komórki macierzyste (komórki, które mogą przekształcić się w komórki krwi) pobrane z krwi pacjenta. Lek stosuje się, gdy leczenie komórkami macierzystymi jest odpowiednie i gdy nie ma właściwych dawców komórek macierzystych.

### Jak stosować lek Casgevy

Lek wydawany na receptę. Lek musi być podawany w zatwierdzonym ośrodku przez lekarza przeszkolonego w zakresie podawania tego leku, który posiada doświadczenie w przeszczepianiu komórek macierzystych i leczeniu zaburzeń krwi wpływających na hemoglobinę.

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Lek Casgevy wytwarza się indywidualnie dla każdego pacjenta z komórek macierzystych pobranych z jego krwi. Lek należy podawać wyłącznie pacjentowi, dla którego został wyprodukowany. Lek podaje się w postaci pojedynczej dawki wlewu dożylnego (kroplówki), a dawka zależy od masy ciała pacjenta.

Przed podaniem leku Casgevy pacjent otrzyma chemioterapię kondycjonującą w celu oczyszczenia szpiku kostnego z komórek.

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

## **Jak działa lek Casgevy**

W celu wytworzenia leku Casgevy komórki macierzyste są modyfikowane genetycznie (za pomocą technologii CRISPR/Cas9) w taki sposób, że wytwarzają większą ilość hemoglobiny płodowej – rodzaju hemoglobiny spotykanej głównie u niemowląt w łonie matki, ale obecnej także w małych ilościach u osób dorosłych. Ze względu na to, że hemoglobina płodowa może zrekompensować brak prawidłowej hemoglobiny u osób dorosłych, zmodyfikowane komórki macierzyste po wstrzyknięciu pacjentom mogą zwiększyć stężenie krwinek czerwonych u pacjentów z  $\beta$ -talasemią oraz zapobiegać bolesnym przełomom u pacjentów z niedokrwistością sierpowatokrwinkową.

## **Korzyści ze stosowania leku Casgevy wykazane w badaniach**

Działania leku Casgevy opierają się na przejściowych wynikach dwóch badań, które nadal są w toku. W badaniach nie porównywano leku Casgevy z innym lekiem ani z placebo.

W jednym badaniu u pacjentów z talasemią w wieku od 12 do 35 lat, w którym lek podawano po chemioterapii kondycjonującej, u 39 z 42 pacjentów stężenie hemoglobiny utrzymywało się na poziomie powyżej 9 g/dl bez konieczności przeprowadzania przetoczeń krwi przez co najmniej 12 kolejnych miesięcy.

Wykazano również, że lek Casgevy jest skuteczny w zapobieganiu bolesnym przełomom w niedokrwistości sierpowatokrwinkowej. W badaniu z udziałem pacjentów z ciężką postacią niedokrwistości sierpowatokrwinkowej w wieku od 12 do 35 lat, u 28 z 29 pacjentów nie występowały już przełomy bólowe przez co najmniej 12 kolejnych miesięcy podczas przyjmowania leku Casgevy po chemioterapii kondycjonującej. Żaden z pacjentów (29 z 29) nie wymagał hospitalizacji z powodu bolesnych przełomów przez co najmniej 12 kolejnych miesięcy.

## **Ryzyko związane ze stosowaniem leku Casgevy**

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

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Casgevy (mogące wystąpić częściej niż u 1 na 10 pacjentów) to: ból głowy, nudności (mdłości) oraz ból mięśni i kości.

Lekarze powinni rozważyć, czy pacjentom można podać wymagane leczenie wstępne przed zastosowaniem leku Casgevy.

## **Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Casgevy w UE**

$\beta$ -talasemia wymagająca przetoczeń oraz niedokrwistość sierpowatokrwinkowa to poważne choroby, w przypadku których możliwości leczenia są ograniczone. Chociaż badania leku Casgevy były na niewielką

skalę i istniały wątpliwości co do tego, jak zostały zaprojektowane, wykazały one, że jednorazowe leczenie może zmniejszyć potrzebę przetoczeń krwinek czerwonych u pacjentów z  $\beta$ -talasemią i ograniczyć liczbę bolesnych przełomów w przypadku pacjentów z niedokrwistością sierpowatokrwinkową.

Pod względem bezpieczeństwa leczenie było na ogół dobrze tolerowane, a działania niepożądane wynikały głównie z chemioterapii kondycjonującej. Może istnieć teoretyczne ryzyko wystąpienia choroby nowotworowej spowodowanej niezamierzonymi zmianami materiału genetycznego, chociaż do tej pory nie zaobserwowano takich przypadków. Istnieje także potencjalne ryzyko krwawienia, ponieważ lek może powodować spadek liczby płytek krwi (składników przyczyniających się do krzepnięcia krwi). Wprowadzono środki mające na celu monitorowanie takich zdarzeń w ramach 15-letniego badania wykorzystującego dane z rejestrów.

Europejska Agencja Leków uznała, że korzyści płynące ze stosowania leku Casgevy przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE. Lek Casgevy uzyskał warunkowe dopuszczenie do obrotu. Oznacza to, że po dopuszczeniu leku do obrotu firma będzie musiała przedstawić dodatkowe dowody.

Warunkowe dopuszczenie do obrotu jest przyznawane na podstawie mniej wyczerpujących danych niż te, które są zwykle wymagane. Przyznaje się je w odniesieniu do leków, które spełniają niezaspokojoną potrzebę medyczną w zakresie leczenia poważnych chorób i w przypadku, gdy korzyści z ich wcześniejszej dostępności przewyższają ryzyko związane ze stosowaniem tych leków w czasie oczekiwania na dalsze dowody. Co roku Agencja dokona przeglądu wszelkich nowych informacji, które będą dostępne do czasu, gdy dane staną się wyczerpujące i w razie potrzeby uaktualni niniejsze ogólne informacje.

## **Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Casgevy**

Firma, która wprowadza lek Casgevy do obrotu, przedstawi wyniki trwających badań w celu dalszej oceny skuteczności i bezpieczeństwa stosowania leku. Firma dostarczy również materiały edukacyjne dla personelu medycznego, który będzie miał podawać lek, zawierające informacje na temat bezpieczeństwa jego stosowania, w tym dotyczące potencjalnych zagrożeń związanych z chorobą nowotworową oraz konieczności monitorowania poziomu płytek krwi pacjenta oraz sposobu podawania leku. Pacjenci otrzymają także przewodnik i kartę informacyjną, które powinni nosić przy sobie.

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

## **Inne informacje dotyczące leku Casgevy**

Dalsze informacje dotyczące leku Casgevy znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/casgevy](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/casgevy)