



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zemcelpro (*dorocubicel / nienamnożone komórki CD34-*)

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

Czym jest lek Zemcelpro i w jakim celu się go stosuje

Zemcelpro jest lekiem z komórek macierzystych stosowanym w leczeniu dorosłych z hematologicznymi nowotworami złośliwymi (nowotworami komórek krwi), którzy wymagają allogenicznego przeszczepienia krwiotwórczych komórek macierzystych (ang. *allogeneic haematopoietic stem cell transplantation*, allo-HSCT) i dla których nie jest dostępny żaden inny rodzaj odpowiednich komórek dawcy.

Allo-HSCT to procedura, w której szpik kostny pacjenta (gąbczasta tkanka znajdująca się wewnątrz dużych kości, w której wytwarzane są komórki krwi) jest oczyszczany z komórek, które są następnie zastępowane komórkami od dopasowanego dawcy. Przeszczepione komórki namnażają się i rozwijają w zdrowe wyspecjalizowane komórki krwi i układu odpornościowego. Lek Zemcelpro jest podawany pacjentom po otrzymaniu przez nich kondycjonowania (leczenia przygotowawczego) z użyciem leków przeciwnowotworowych w celu usunięcia komórek ze szpiku kostnego.

Ze względu na to, że HSCT jest procedurą rzadko stosowaną, w dniu 22 kwietnia 2020 r. lek Zemcelpro uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach) do stosowania u pacjentów wymagających HSCT. Więcej informacji na temat przyznania statusu leku sierocego można znaleźć na [stronie internetowej](#) EMA.

Lek Zemcelpro jest wytwarzany dla konkretnego pacjenta. Zawiera dwa rodzaje komórek macierzystych pochodzące z oddanej krwi pępowinowej: dorocubicel (namnożone komórki CD34+; termin „namnożone” oznacza, że komórki zostały wyhodowane i rozmnożone w warunkach laboratoryjnych) i nienamnożone komórki CD34-.

Jak stosować lek Zemcelpro

Lek wydawany na receptę. Lek musi być podawany w wykwalifikowanym ośrodku transplantacyjnym, który specjalizuje się w przeprowadzaniu HSCT, przez lekarza mającego doświadczenie w leczeniu nowotworów komórek krwi.

Lek Zemcelpro podaje się raz w pojedynczej dawce we wlewie dożylnym (kroplówce). Pojedyncza dawka leku Zemcelpro obejmuje od 1 do 4 worków infuzyjnych zawierających dorocubicel i 4 worki zawierające nienamnożone komórki CD34-.

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



Przed podaniem i po podaniu leku Zemcelpro pacjenci otrzymują leki zmniejszające ryzyko reakcji na wlew i pozwalające zapobiec powikłaniom związanym z przeszczepieniem.

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

Jak działa lek Zemcelpro

Lek Zemcelpro stosuje się w leczeniu pacjentów z nowotworami krwi, którzy wymagają allo-HSCT i dla których nie jest dostępny żaden inny rodzaj odpowiednich komórek dawcy.

U tych pacjentów można zastosować komórki krwi pępowinowej. Jednak u niektórych pacjentów odpowiednia krew pępowinowa jest niedostępna ze względu na niską liczbę komórek macierzystych w oddanej krwi pępowinowej. Niska liczba komórek macierzystych w krwi pępowinowej może spowodować opóźnione wszczepienie (moment, w którym przeszczepione komórki zaczynają wzrastać i wytwarzać zdrowe komórki krwi).

W przypadku leku Zemcelpro część komórek macierzystych krwi pępowinowej hoduje się i namnaża w warunkach laboratoryjnych, a następnie podaje wraz z komórkami nienamnożonymi pochodzącymi z tej samej krwi pępowinowej. Namnożone komórki CD34+ sprzyjają głównie wzrostowi zdrowych komórek krwi, podczas gdy nienamnożone komórki CD34- wspierają ten proces, a także pomagają w usunięciu wszelkich pozostałych komórek nowotworowych. Po podaniu wlewu komórki macierzyste z leku Zemcelpro migrują do szpiku kostnego, gdzie namnażają się, dojrzewają i rozwijają w zdrowe wyspecjalizowane komórki krwi i układu odpornościowego.

Korzyści ze stosowania leku Zemcelpro wykazane w badaniach

Korzyści z leczenia lekiem Zemcelpro wykazano w dwóch badaniach głównych z udziałem 25 pacjentów z białaczką lub mielodysplazją wysokiego ryzyka (rodzajami nowotworu krwi), którzy wymagali allo-HSCT i dla których nie był dostępny żaden inny rodzaj odpowiednich komórek dawcy. W tych trwających badaniach leku Zemcelpro nie porównywano z żadną inną terapią.

Badania wykazały, że u pacjentów średni czas potrzebny do wszczepienia neutrofili (momentu, w którym przeszczepione komórki zaczynają wzrastać i wytwarzać neutrofile, będące rodzajem krwinek białych) po otrzymaniu leku Zemcelpro wynosił 20 dni. Do dnia 42 u 21 z 25 (84%) pacjentów uzyskano wszczepienie neutrofili.

Ponadto średnio po 40 dniach od otrzymania leku Zemcelpro u pacjentów uzyskano wszczepienie płytek krwi (moment, w którym przeszczepione komórki zaczynają wzrastać i wytwarzać płytki krwi, które pomagają krwi krzepnąć). Do dnia 100 u 17 z 25 (68%) pacjentów uzyskano wszczepienie płytek krwi.

Powyższe wyniki wskazują, że przeszczepienie się powiodło oraz że w szpiku kostnym zaczynają być wytwarzane nowe komórki krwi.

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Zemcelpro

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

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Zemcelpro (mogące wystąpić częściej niż u 1 na 10 pacjentów) to: limfopenia (niskie miano limfocytów, rodzaju krwinek białych), zakażenia, niedokrwistość (niskie miano krwinek czerwonych), neutropenia (niskie miano neutrofili), małopłytkowość (niskie miano płytek krwi), leukopenia (niskie miano krwinek białych),

hipogammaglobulinemia (obniżone miano przeciwciał we krwi), gorączka neutropeniczna (niskie miano neutrofili przebiegające z gorączką), nadciśnienie (wysokie ciśnienie krwi), zespół okołowszczepienny (powikłanie HSCT z takimi objawami jak gorączka, wysypka i inne reakcje zapalne) oraz zapalenie płuc (zakażenie płuc). U 60% pacjentów zgłaszano ostrą chorobę przeszczep przeciw gospodarzowi (ang. *Graft-versus-Host Disease*, GvHD, stan, w którym komórki dawcy atakują organizm wkrótce po przeszczepieniu), a u 16% pacjentów — przewlekłą GvHD (która występuje zwykle później niż ostra GvHD, od kilku tygodni do kilku miesięcy po przeszczepieniu).

U około 8% pacjentów leczonych lekiem Zemcelpro wystąpiły działania niepożądane prowadzące do zgonu, które obejmowały zakażenia, ostrą GvHD, krwotok do pęcherzyków płucnych (stan, w którym dochodzi do krwawienia do pęcherzyków płuc), stan zapalny płuc (taki jak zespół związany z idiopatycznym zapaleniem płuc i kryptogenne organizujące się zapalenie płuc) oraz nadciśnienie płucne (wysokie ciśnienie krwi w naczyniach krwionośnych zaopatrujących płuca).

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Zemcelpro w UE

W momencie dopuszczenia leku do obrotu terapia pacjentów z nowotworami komórek krwi, którzy wymagali HSCT i dla których nie był dostępny żaden inny rodzaj odpowiednich komórek dawcy, stanowiła wyzwanie kliniczne. Tacy pacjenci nie mieli żadnych innych możliwości leczenia, a ich szanse na powrót do zdrowia były minimalne.

Na podstawie wyników uzyskanych od niewielkiej liczby pacjentów w trwających badaniach wzrost mian neutrofili i płytek krwi po podaniu leku Zemcelpro był szybki, niezawodny i utrzymujący się, co wskazuje, że lek Zemcelpro może przynosić korzyści takim pacjentom. W przypadku pacjentów, którzy w momencie dopuszczenia leku do obrotu nie mieli żadnych innych możliwości leczenia, uznano, że bezpieczeństwo stosowania leku Zemcelpro jest akceptowalne.

Lek Zemcelpro uzyskał warunkowe dopuszczenie do obrotu w UE. 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 Zemcelpro, w tym przedstawić ostateczne wyniki dwóch trwających badań głównych i dwóch dodatkowych badań leku Zemcelpro oraz dane z innego badania opartego na rejestrze pacjentów leczonych lekiem Zemcelpro. Co roku Agencja dokona przeglądu wszelkich nowych informacji, które będą dostępne.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Zemcelpro

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

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

Inne informacje dotyczące leku Zemcelpro

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