



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Casgevy (exagamglogene autotemcel)

Um resumo sobre Casgevy e por que está autorizado na UE

### O que é Casgevy e para que é utilizado?

Casgevy é um medicamento utilizado no tratamento de doenças do sangue conhecidas como beta-talassemia e anemia de células falciformes em doentes com 12 ou mais anos de idade.

Na beta-talassemia, o Casgevy é utilizado em doentes que necessitam de transfusões de sangue regulares. Os doentes com esta doença não produzem hemoglobina suficiente, a proteína presente nos glóbulos vermelhos responsável pelo transporte de oxigénio através do organismo. Por essa razão, estes doentes têm baixos níveis de glóbulos vermelhos e necessitam de transfusões de sangue com frequência.

Na anemia de células falciformes, o Casgevy é utilizado em doentes com doença grave e crises dolorosas recorrentes. Os doentes com esta doença têm uma forma anormal de hemoglobina que torna os glóbulos vermelhos rígidos e pegajosos, deixando de ser em forma de disco para passarem a ser em forma de crescente (como uma foice). Estas células podem bloquear os vasos sanguíneos, causando crises dolorosas que afetam o peito, o abdómen (barriga) e outras partes do corpo.

A beta-talassemia e a anemia de células falciformes são doenças raras, tendo o Casgevy sido designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras). Mais informações sobre as designações de medicamentos órfãos podem ser encontradas no sítio Web da Agência Europeia de Medicamentos ([beta talassemia](#): 17 de outubro de 2019; [anemia de células falciformes](#): 9 de janeiro de 2020)

Casgevy contém como substância ativa células estaminais geneticamente modificadas (células que podem transformar-se em células sanguíneas) extraídas do sangue do próprio doente. É utilizado quando os tratamentos com células estaminais são adequados e não estão disponíveis doadores de células estaminais adequados.

### Como se utiliza Casgevy?

Casgevy só pode ser obtido mediante receita médica e deve ser administrado num centro aprovado por um médico com formação na administração deste medicamento e que tenha experiência em transplante de células estaminais e no tratamento de doenças do sangue que afetam a hemoglobina.

---

**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



Casgevy é fabricado individualmente com células estaminais colhidas do sangue do próprio doente e só pode ser administrado ao doente para o qual foi fabricado. É administrado sob a forma de uma perfusão de dose única (administração gota a gota) numa veia e a dose depende do peso corporal do doente.

Antes da administração de Casgevy, o doente recebe um tratamento de quimioterapia de preparação para eliminar as células da medula óssea.

Para mais informações sobre a utilização de Casgevy, consulte o Folheto Informativo ou contacte o seu prestador de cuidados de saúde.

## **Como funciona Casgevy?**

Para fabricar Casgevy, as células estaminais são editadas (pela tecnologia CRISPR/Cas9) de modo a produzirem mais hemoglobina fetal, um tipo de hemoglobina que se encontra principalmente em bebés do útero, mas também presente em pequenas quantidades em adultos. Uma vez que a hemoglobina fetal pode compensar a falta de hemoglobina adulta normal, as células estaminais modificadas, quando injetadas em doentes, podem aumentar os níveis de glóbulos vermelhos em doentes com beta-talassemia e prevenir crises dolorosas em doentes com doença das células infeciosas.

## **Quais os benefícios demonstrados por Casgevy durante os estudos?**

Os efeitos de Casgevy baseiam-se nos resultados intercalares de dois estudos que ainda estão em curso. Os estudos não compararam o Casgevy com outro medicamento ou placebo.

Num estudo em doentes com talassemia com idades compreendidas entre os 12 e os 35 anos, em que o medicamento foi administrado após tratamento de condicionamento com quimioterapia, 39 dos 42 doentes mantiveram níveis de hemoglobina superiores a 9 g/dL sem a necessidade de transfusões de sangue durante, pelo menos, 12 meses consecutivos.

Casgevy também demonstrou ser eficaz na prevenção de crises dolorosas das células falciformes. Num estudo em doentes com anemia de células falciformes grave com idades compreendidas entre os 12 e os 35 anos, 28 dos 29 doentes não sofreram crises dolorosas durante, pelo menos, 12 meses consecutivos quando tratados com o Casgevy após quimioterapia de condicionamento. Nenhum dos doentes (29 em 29) necessitou de hospitalização por crises dolorosas durante, pelo menos, 12 meses consecutivos.

## **Quais são os riscos associados a Casgevy?**

Para a lista completa de efeitos secundários e de restrições de utilização de Casgevy, consulte o Folheto Informativo.

Os efeitos secundários mais frequentes associados a Casgevy (que podem afetar mais de 1 em cada 10 pessoas) incluem dor de cabeça, náuseas (enjoo), dores musculares e ósseas.

Os médicos devem ponderar se os doentes podem receber os pré-tratamentos necessários para a administração de Casgevy.

## **Porque está Casgevy autorizado na UE?**

A beta-talassemia que requer transfusões e a anemia de células falciformes são doenças graves para as quais as opções de tratamento são limitadas. Embora os estudos com Casgevy fossem pequenos e

houvesse incertezas associadas à sua conceção, mostraram que o tratamento único pode reduzir a necessidade de transfusões de glóbulos vermelhos em doentes com beta-talassemia e reduzir o número de crises dolorosas em doentes com anemia de células falciformes.

Em termos de segurança, o tratamento foi geralmente bem tolerado e os efeitos secundários deveriam-se principalmente à quimioterapia de condicionamento. Poderia existir um risco teórico de cancro causado por alterações não intencionais do material genético, embora até à data não tenham sido observados tais casos. Existe também um potencial risco de hemorragia, uma vez que o medicamento pode causar uma diminuição do número de plaquetas (componentes que ajudam o sangue a coagular). Estão em vigor medidas para monitorizar esses eventos através de um estudo de 15 anos baseado em registos.

A Agência Europeia de Medicamentos concluiu que os benefícios de Casgevy são superiores aos seus riscos e que o medicamento pode ser autorizado para utilização na UE. Foi concedida a Casgevy uma «autorização condicional». Isto significa que a empresa terá de fornecer mais informação após a autorização.

A autorização condicional é concedida com base em dados menos completos do que os normalmente exigidos. É concedida para medicamentos que preenchem uma necessidade médica por satisfazer para tratar doenças graves e quando os benefícios de os ter disponíveis mais cedo são superiores a quaisquer riscos associados à utilização dos medicamentos enquanto se aguardam mais evidências. A Agência procederá, anualmente, à análise de novas informações disponíveis até serem obtidos dados completos e atualizará este resumo conforme necessário.

## **Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Casgevy?**

A empresa responsável pela comercialização de Casgevy fornecerá os resultados de estudos em curso para avaliar a eficácia e a segurança do medicamento. A empresa fornecerá também materiais educacionais aos profissionais de saúde que se prevê que utilizem o medicamento, com informações sobre a sua segurança, incluindo o potencial risco de cancro e a necessidade de monitorizar os níveis de plaquetas do doente, e a forma como o medicamento deve ser administrado. Os doentes receberão também um guia e um cartão que devem trazer sempre consigo.

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram igualmente incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz de Casgevy.

Tal como para todos os medicamentos, os dados sobre a utilização de Casgevy são continuamente monitorizados. Os efeitos secundários comunicados com Casgevy são cuidadosamente avaliados e são tomadas quaisquer ações necessárias para proteger os doentes.

## **Outras informações sobre Casgevy**

Estão disponíveis mais informações sobre o medicamento no sítio Web da Agência:

[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/casgevy](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/casgevy)