



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zemcelpro (*dorocubicel/ células CD34- não expandidas*)

Um resumo sobre Zemcelpro e por que está autorizado na UE

O que é Zemcelpro e para que é utilizado?

Zemcelpro é um medicamento com células estaminais utilizado para o tratamento de adultos com doenças hematológicas malignas (cancros de células sanguíneas) que necessitam de um transplante alogénico de células estaminais hematopoiéticas (TCEH alogénico) e para os quais não está disponível outro tipo de células dadoras adequadas.

O TCEH alogénico é um procedimento no qual as células da medula óssea do doente (tecido esponjoso no interior dos ossos grandes onde as células sanguíneas são produzidas) são eliminadas, sendo substituídas por células de um dador compatível; as células transplantadas multiplicam-se e desenvolvem-se, tornando-se células sanguíneas e imunitárias especializadas e saudáveis. Zemcelpro é administrado depois de os doentes terem recebido tratamento de condicionamento (preparatório) com medicamentos contra o cancro para eliminar células da medula óssea.

O TCEH alogénico é um procedimento raro e Zemcelpro foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) para utilização em doentes que necessitam de um TCEH a 22 de abril de 2020. Mais informações sobre a designação de medicamento órfão podem ser encontradas no [sítio Web](#) da EMA.

Zemcelpro é fabricado especificamente para cada doente. Contém dois tipos de células estaminais do sangue do cordão umbilical doado: dorocubicel (células CD34+ expandidas; expandidas significa que as células foram cultivadas e multiplicadas em laboratório) e células CD34- não expandidas.

Como se utiliza Zemcelpro?

Zemcelpro só pode ser obtido mediante receita médica. Tem de ser administrado num centro de transplantes qualificado, especializado em TCEH, por um médico com experiência no tratamento de cancros de células sanguíneas.

Zemcelpro é administrado uma vez em dose única, por perfusão (administração gota a gota) numa veia. Uma dose única de Zemcelpro é constituída por 1 a 4 sacos de perfusão contendo dorocubicel e 4 sacos contendo células CD34- não expandidas.

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



Antes e depois do tratamento com Zemcelpro, os doentes recebem outros medicamentos para reduzir o risco de reações relacionadas com a perfusão e para prevenir complicações relacionadas com o transplante.

Para mais informações sobre a utilização de Zemcelpro, consulte o Folheto Informativo ou contacte o seu médico.

Como funciona Zemcelpro?

Zemcelpro é utilizado para o tratamento de doentes com cancros do sangue que necessitam de um TCEH alogénico e para os quais não está disponível outro tipo de células dadoras adequadas.

As células sanguíneas do cordão umbilical podem ser utilizadas nestes doentes; no entanto, para alguns doentes não está disponível sangue do cordão umbilical adequado devido ao baixo número de células estaminais no sangue do cordão umbilical doado. Um número baixo de células estaminais no sangue do cordão umbilical pode atrasar o enxerto (quando as células transplantadas começam a desenvolver-se e a produzir células sanguíneas saudáveis).

Em Zemcelpro, algumas das células estaminais do cordão umbilical são cultivadas e multiplicadas em laboratório, sendo depois administradas juntamente com células não expandidas do mesmo sangue do cordão umbilical. As células CD34+ expandidas promovem principalmente o crescimento de células sanguíneas saudáveis, ao passo que as células CD34- não expandidas apoiam esse processo e também ajudam a remover quaisquer células cancerígenas remanescentes. Após a perfusão, as células estaminais de Zemcelpro migram para a medula óssea, onde se multiplicam, amadurecem e se desenvolvem, tornando-se células sanguíneas e imunitárias especializadas e saudáveis.

Quais os benefícios demonstrados por Zemcelpro durante os estudos?

Os benefícios de Zemcelpro foram demonstrados em dois estudos principais que incluíram 25 doentes com leucemia de alto risco ou mielodisplasia (tipos de cancro do sangue) que necessitavam de um TCEH alogénico e para os quais não estava disponível outro tipo de células dadoras adequadas. Nos estudos, atualmente em curso, Zemcelpro não foi comparado com qualquer outro tratamento.

Os estudos demonstraram que o tempo médio necessário para os doentes atingirem o enxerto de neutrófilos (quando as células transplantadas se começam a desenvolver e a produzir neutrófilos, um tipo de glóbulo branco) após a administração de Zemcelpro foi de 20 dias. No dia 42, 21 dos 25 doentes (84 %) tinham alcançado o enxerto de neutrófilos.

Além disso, os doentes alcançaram o enxerto de plaquetas (quando as células transplantadas se começam a desenvolver e a produzir plaquetas, componentes que ajudam o sangue a coagular) em média 40 dias após a administração de Zemcelpro; no dia 100, 17 dos 25 doentes (68 %) tinham alcançado o enxerto de plaquetas.

Os resultados acima descritos indicam que o transplante foi bem-sucedido e que começaram a ser produzidas novas células sanguíneas na medula óssea.

Quais são os riscos associados a Zemcelpro?

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

Os efeitos secundários mais frequentes associados a Zemcelpro (que podem afetar mais de 1 em cada 10 pessoas) incluem linfopenia (níveis baixos de linfócitos, um tipo de glóbulo branco), infeções, anemia (níveis baixos de glóbulos vermelhos), neutropenia (níveis baixos de neutrófilos),

trombocitopenia (níveis baixos de plaquetas sanguíneas), leucopenia (níveis baixos de glóbulos brancos), hipogamaglobulinemia (níveis reduzidos de anticorpos no sangue), neutropenia febril (níveis baixos de neutrófilos, com aparecimento de febre), hipertensão (tensão arterial elevada), síndrome do enxerto (uma complicação do TCEH com sintomas como febre, erupção cutânea e outras respostas inflamatórias) e pneumonia (infecção pulmonar). Foi notificada doença do enxerto contra o hospedeiro aguda (DECH, quando as células do dador atacam o organismo pouco depois de um transplante) em 60 % dos doentes, e foi notificada DECH crónica (que normalmente se desenvolve mais tarde do que a DECH aguda, várias semanas a meses após um transplante) em 16 % dos doentes.

Ocorreram efeitos secundários que resultaram em morte em cerca de 8 % dos doentes tratados com Zemcelpro e que incluíram infeções, DECH aguda, hemorragia alveolar pulmonar (uma doença em que ocorre sangramento nos alvéolos dos pulmões), pneumonite (inflamação nos pulmões, tal como síndrome pulmonar idiopática e pneumonia organizativa criptogénica) e hipertensão pulmonar (tensão arterial elevada nos vasos sanguíneos que irrigam os pulmões).

Por que está Zemcelpro autorizado na UE?

No momento da autorização, o tratamento de doentes com cancro de células sanguíneas que necessitavam de um TCEH e para os quais não estava disponível outro tipo de células dadoras adequadas representava um desafio clínico. Estes doentes não dispunham de outras opções de tratamento disponíveis e tinham uma probabilidade mínima de recuperação.

Com base nos resultados de um pequeno número de doentes incluídos nos estudos em curso, a recuperação de neutrófilos e de plaquetas após o tratamento com Zemcelpro foi rápida, robusta e sustentada, indicando que Zemcelpro pode ser benéfico para estes doentes. A segurança de Zemcelpro foi considerada aceitável nestes doentes que não dispunham de outras opções de tratamento no momento da autorização.

Foi concedida a Zemcelpro uma autorização condicional para utilização na UE. Isto significa que o medicamento foi autorizado com base em dados menos completos do que os normalmente exigidos, uma vez que preenche uma necessidade médica por satisfazer. A Agência Europeia de Medicamentos considera que os benefícios de ter o medicamento disponível mais cedo são superiores a quaisquer riscos associados à sua utilização enquanto se aguardam mais evidências.

A empresa tem de fornecer dados adicionais sobre Zemcelpro. Tem de apresentar os resultados finais dos dois estudos principais atualmente em curso e de dois estudos adicionais com Zemcelpro, e fornecer ainda dados de outro estudo com base num registo de doentes tratados com Zemcelpro. A Agência procederá, anualmente, à análise de novas informações disponíveis.

Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Zemcelpro?

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

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

Outras informações sobre Zemcelpro

Estão disponíveis mais informações sobre Zemcelpro no sítio Web da Agência:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zemcelpro