



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Casgevvy (exagamglogen autotemcel)

Prezentare generală a Casgevvy și motivele autorizării medicamentului în UE

### Ce este Casgevvy și pentru ce se utilizează?

Casgevvy este un medicament utilizat pentru tratarea tulburărilor hematologice talasemie beta și siclemie la pacienți cu vârsta de 12 ani și peste.

Pentru talasemie beta, Casgevvy se administrează la pacienți care necesită transfuzii regulate de sânge. Pacienții cu această afecțiune nu produc suficientă hemoglobină, proteina din globulele roșii care transportă oxigenul în organism. Ca urmare, acești pacienți au un număr mic de globule roșii și au nevoie de transfuzii frecvente de sânge.

Pentru siclemie, Casgevvy se utilizează la pacienții cu boală severă și crize dureroase repetate. Pacienții cu această afecțiune au o formă anormală de hemoglobină care face ca globulele roșii să devină rigide și lipicioase și să-și schimbe forma de disc în formă de semilună (de seceră). Aceste celule pot bloca vasele de sânge, provocând crize dureroase care afectează pieptul, abdomenul (burta) și alte părți ale corpului/la nivelul pieptului, abdomenului (burții) și altor părți ale corpului.

Talasemia beta și siclemia sunt rare, iar Casgevvy a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament utilizat în boli rare). Informații suplimentare privind desemnările ca medicament orfan sunt disponibile pe site-ul Agenției Europene pentru Medicamente ([talasemie beta](#) : 17 octombrie 2019; [siclemie](#): 9 ianuarie 2020)

Casgevvy conține ca substanță activă celule stem modificate genetic (celule care se pot transforma în celule sanguine) prelevate din sângele pacientului. Se utilizează când tratamentele cu celule stem sunt adecvate și nu sunt disponibili donatori compatibili de celule stem.

### Cum se utilizează Casgevvy?

Casgevvy se poate obține numai pe bază de prescripție medicală și trebuie administrat într-un centru autorizat, de către un medic instruit în administrarea acestui medicament și cu experiență în transplantul de celule stem și în tratamentul tulburărilor hematologice care afectează hemoglobina.

Casgevvy se prepară individual pentru fiecare pacient, din propriile celulele stem prelevate din sânge și trebuie administrat doar pacientului pentru care a fost preparat. Se administrează sub formă de perfuzie intravenoasă (picurare în venă) cu doză unică, iar doza depinde de greutatea pacientului.

---

**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



Înainte de administrarea Casgevy, pacientul va primi tratament de condiționare cu chimioterapie, pentru a curăța măduva de celule.

Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Casgevy, citiți prospectul sau adresați-vă furnizorului dumneavoastră de servicii medicale.

## **Cum acționează Casgevy?**

Pentru a produce Casgevy, celulele stem sunt editate (prin tehnologie CRISPR/Cas9), astfel încât să producă mai multă hemoglobină fetală, un tip de hemoglobină care se găsește în principal la făt, în perioada uterină, dar care este prezentă în cantități mici și la adulți. Deoarece hemoglobina fetală poate compensa lipsa hemoglobinei normale la adulți, celulele stem modificate, când sunt injectate la pacienți, pot mări numărul de globule roșii la cei cu talasemie beta și pot preveni crizele dureroase la cei cu siclemie.

## **Ce beneficii a prezentat Casgevy pe parcursul studiilor?**

Efectele Casgevy se bazează pe rezultatele intermediare a două studii care sunt încă în curs de desfășurare. Studiile nu au comparat Casgevy cu alt medicament sau cu placebo.

Într-un studiu efectuat la pacienți cu talasemie cu vârste cuprinse între 12 și 35 de ani, în care medicamentul a fost administrat după tratamentul de condiționare cu chimioterapie, 39 din 42 de pacienți și-au menținut hemoglobina peste 9 g/dl fără a avea nevoie de transfuzii de sânge cel puțin 12 luni consecutive.

De asemenea, Casgevy s-a dovedit eficace în prevenirea crizelor dureroase de siclemie. Într-un studiu pe pacienți cu siclemie severă cu vârste cuprinse între 12 și 35 de ani, 28 din 29 de pacienți nu au avut crize dureroase cel puțin 12 luni consecutive în timpul tratamentului cu Casgevy după tratamentul de condiționare cu chimioterapie. Niciunul din pacienți (29 din 29) nu a necesitat spitalizare pentru crize dureroase cel puțin 12 luni consecutive.

## **Care sunt riscurile asociate cu Casgevy?**

Pentru lista completă a reacțiilor adverse și a restricțiilor asociate cu Casgevy, citiți prospectul.

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Casgevy (care pot afecta mai mult de 1 persoană din 10) sunt dureri de cap, greață și dureri de mușchi și de oase.

Medicii trebuie să analizeze dacă, înainte de a primi Casgevy, pacienții pot face tratamentele prealabile necesare.

## **De ce a fost autorizat Casgevy în UE?**

Talasemia beta dependentă de transfuzii și siclemia sunt afecțiuni grave, pentru care opțiunile de tratament sunt limitate. Deși studiile cu Casgevy au fost mici și au existat incertitudini legate de modul în care au fost concepute, au arătat că tratamentul administrat o singură dată poate reduce nevoia de transfuzii de globule roșii la pacienții cu talasemie beta și poate reduce numărul de crize dureroase la pacienții cu siclemie.

În ceea ce privește siguranța, tratamentul a fost în general bine tolerat, iar reacțiile adverse s-au datorat în principal tratamentul de condiționare cu chimioterapie. Ar putea exista un risc teoretic de cancer cauzat de modificări neintenționate ale materialului genetic, deși până în prezent nu s-au observat asemenea cazuri. Există și un risc potențial de sângerare deoarece medicamentul poate cauza

scăderea numărului de trombocite (componente care ajută la coagularea sângelui). S-au luat măsuri de monitorizare pentru asemenea evenimente printr-un studiu bazat pe registru cu durata de 15 ani.

Agenția Europeană pentru Medicamente a hotărât că beneficiile Casgevy sunt mai mari decât riscurile asociate și acest medicament poate fi autorizat pentru utilizare în UE. Casgevy a primit „autorizare condiționată”. Aceasta înseamnă că compania va trebui să furnizeze dovezi suplimentare după autorizare.

Autorizația condiționată se acordă pe baza unor date mai puțin cuprinzătoare decât cele solicitate în mod normal. Se acordă pentru medicamentele care îndeplinesc o necesitate medicală nesatisfăcută de tratare a unor boli grave și în cazul în care beneficiile disponibilității lor timpurii sunt mai mari decât riscurile asociate cu utilizarea medicamentelor în așteptarea de dovezi suplimentare. În fiecare an, agenția va analiza informațiile nou apărute până când datele sunt complete, iar această prezentare generală va fi actualizată, după caz.

### **Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Casgevy?**

Compania care comercializează Casgevy va prezenta rezultatele studiilor aflate în derulare pentru a evalua în continuare eficacitatea și siguranța medicamentului. De asemenea, compania va furniza materiale educaționale personalului medical care se preconizează că va utiliza medicamentul, cu informații privind siguranța acestuia, inclusiv riscul potențial de cancer și necesitatea de a monitoriza nivelul de trombocite al pacientului, precum și modul de administrare a medicamentului. La rândul lor, pacienții vor primi un ghid și un card pe care trebuie să le poarte asupra lor.

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse, de asemenea, recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Casgevy, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Ca pentru toate medicamentele, datele cu privire la utilizarea Casgevy sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse suspectate raportate pentru Casgevy sunt evaluate cu atenție și sunt luate toate măsurile necesare pentru protecția pacienților.

### **Alte informații despre Casgevy**

Mai multe informații despre Casgevy se pot găsi pe site-ul agenției:

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