



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zemcelpro (*dorocubicel/celule CD34 neexpandate*)

Prezentare generală a Zemcelpro și motivele autorizării medicamentului în UE

Ce este Zemcelpro și pentru ce se utilizează?

Zemcelpro este un medicament cu celule stem utilizat în tratamentul la adulți cu afecțiuni hematologice maligne (cancere ale celulelor sanguine) care au nevoie de transplant de celule stem hematopoietice alogene și pentru care nu este disponibil niciun alt tip de celule donatoare adecvate.

Transplantul de celule stem hematopoietice alogene este o procedură prin care măduva osoasă a pacientului (țesutul spongios din interiorul oaselor mari unde se produc celulele sanguine) este golită de celule, care sunt apoi înlocuite cu celule de la un donator compatibil; celulele transplantate se înmulțesc și se transformă în celule sanguine specializate sănătoase și imune. Zemcelpro se administrează după ce pacienții au primit tratament de condiționare (pregătitor) cu medicamente împotriva cancerului pentru a elimina celulele din măduva osoasă.

Transplantul de celule stem hematopoietice (TCSH) este o procedură rară, iar Zemcelpro a fost desemnat „medicament orfan” (medicament utilizat în boli rare) la 22 aprilie 2020, pentru utilizare la pacienții care au nevoie de TCSH. Mai multe informații despre medicamentele desemnate orfane se pot găsi pe [site-ul](#) EMA.

Zemcelpro se prepară special pentru fiecare pacient. Conține două tipuri de celule stem din sângele donat din cordonul ombilical: dorocubicel (celule CD34+ expandate; expandate înseamnă că celulele au fost cultivate și înmulțite în laborator) și celule CD34- neexpandate.

Cum se utilizează Zemcelpro?

Zemcelpro se poate obține numai pe bază de prescripție medicală. Trebuie administrat într-un centru de transplant calificat, cu experiență în TCSH, de către un medic cu experiență în tratamentul cancerelor celulelor sanguine.

Zemcelpro se administrează o singură dată, în doză unică, sub formă de perfuzie intravenoasă (picurare în venă). O doză unică de Zemcelpro conține 1-4 pungi de perfuzie cu dorocubicel și 4 pungi cu celule CD34- neexpandate.

Înainte și după tratamentul cu Zemcelpro, pacienților li se administrează alte medicamente pentru a reduce riscul de reacții asociate perfuziei și pentru a preveni complicațiile transplantului.

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



Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Zemcelpro, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră.

Cum acționează Zemcelpro?

Zemcelpro se utilizează în tratamentul pacienților cu cancere ale sângelui care au nevoie de transplant de celule stem hematopoietice alogene și pentru care nu este disponibil niciun alt tip de celule donatoare adecvate.

Celulele sanguine din cordonul ombilical pot fi utilizate la acești pacienți, însă pentru unii pacienți nu este disponibil sânge adecvat din cordonul ombilical, din cauza numărului mic de celule stem din sângele ombilical donat. Un număr mic de celule stem din sângele ombilical poate întârzia grefarea (când celulele transplantate încep să crească și să producă celule sanguine sănătoase).

În Zemcelpro, unele celule stem din cordonul ombilical sunt cultivate și înmulțite în laborator, fiind apoi administrate împreună cu celule neexpandate din același sânge din cordonul ombilical. Celulele CD34+ expandate favorizează în principal dezvoltarea de celule sanguine sănătoase, în timp ce celulele CD34-neexpandate susțin această creștere, contribuind și la eliminarea eventualelor celule canceroase rămase după tratament. După perfuzie, celulele stem din Zemcelpro migrează în măduva osoasă, unde se înmulțesc, ajung la maturitate și se transformă în celule sanguine specializate sănătoase și imune.

Ce beneficii a prezentat Zemcelpro pe parcursul studiilor?

Beneficiile Zemcelpro au fost demonstrate în două studii principale care au cuprins 25 de pacienți cu risc mare de leucemie sau mielodisplazie (tipuri de cancer al sângelui) care aveau nevoie de transplant de celule stem hematopoietice alogene și pentru care nu era disponibil niciun alt tip de celule donatoare adecvate. În studiile aflate în desfășurare, Zemcelpro nu a fost comparat cu niciun alt tratament.

Studiile au arătat că, în medie, timpul necesar pacienților pentru a obține grefarea neutrofilelor (când celulele transplantate încep să crească și să producă neutrofile, un tip de globule albe) după administrarea Zemcelpro a fost de 20 de zile. Până în ziua 42, 21 de pacienți din 25 (84 %) obținuseră grefarea neutrofilelor.

În plus, pacienții au obținut grefarea trombocitelor (când celulele transplantate încep să crească și să producă trombocite, componente care ajută sângele să se coaguleze) după o medie de 40 zile de la administrarea Zemcelpro; până în ziua 100, 17 pacienți din 25 (68 %) obținuseră grefarea trombocitelor.

Rezultatele de mai sus arată că transplantul a fost reușit și că măduva osoasă a început să producă celule sanguine noi.

Care sunt riscurile asociate cu Zemcelpro?

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

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Zemcelpro (care pot afecta mai mult de 1 persoană din 10) sunt limfopenie (număr mic de limfocite, un tip de globule albe), infecții, anemie (număr mic de globule roșii), neutropenie (număr mic de neutrofile), trombocitopenie (număr mic de trombocite), leucopenie (număr mic de globule albe); hipogammaglobulinemie (număr mic de anticorpi în sânge), neutropenie febrilă (număr mic de neutrofile asociat cu febră), hipertensiune (tensiune arterială mare), sindrom de grefare (complicație a TCSH cu simptome precum febră, erupții pe piele și alte reacții inflamatorii) și pneumonie (infecție pulmonară). Boala grefă-contra-gazdă (BGCG) acută, când celulele

donatoare atacă organismul la scurt timp după transplant) a fost raportată la 60 % din pacienți, iar BGCG cronică (care apare de obicei mai târziu decât BGCG acută, în decurs de câteva săptămâni până la luni după transplant) a fost raportată la 16 % din pacienți.

Reacțiile adverse care au dus la deces au apărut la aproximativ 8 % din pacienții tratați cu Zemcelpro și au cuprins infecții, BGCG acută, hemoragie la nivelul alveolelor pulmonare (afecțiune în care apar sângerări în sacii alveolari ai plămânilor), pneumonită (inflamație a plămânilor, cum ar fi sindromul pneumoniei idiopatice și pneumonie în organizare criptogenică) și hipertensiune pulmonară (tensiune arterială mare în vasele de sânge care alimentează plămânii).

De ce a fost autorizat Zemcelpro în UE?

La momentul autorizării, tratamentul pentru pacienții cu cancere ale celulelor sanguine care aveau nevoie de TCSH și pentru care nu era disponibil niciun alt tip de celule donatoare adecvate reprezenta o provocare clinică. Acești pacienți nu aveau la dispoziție alte opțiuni de tratament și aveau șanse minime de recuperare.

Pe baza rezultatelor obținute de la un număr mic de pacienți din studiile în desfășurare, recuperarea neutrofilelor și a trombocitelor după tratamentul cu Zemcelpro a fost rapidă, solidă și susținută, ceea ce arată că Zemcelpro poate fi benefic pentru acești pacienți. Siguranța Zemcelpro a fost considerată acceptabilă la acești pacienți fără alte opțiuni de tratament la momentul autorizării.

Zemcelpro a primit autorizație condiționată pentru utilizare în UE. Acest lucru înseamnă că medicamentul a fost autorizat pe baza unor date mai puțin cuprinzătoare decât cele solicitate în mod normal, pentru că îndeplinește o necesitate medicală nesatisfăcută. Agenția Europeană pentru Medicamente consideră că beneficiile disponibilității timpurii a medicamentului sunt mai mari decât riscurile asociate cu utilizarea acestuia, în așteptarea de dovezi suplimentare.

Compania trebuie să furnizeze date suplimentare cu privire la Zemcelpro. Trebuie să prezinte rezultatele finale ale celor două studii principale în desfășurare și ale celor două studii suplimentare cu Zemcelpro și să furnizeze date dintr-un alt studiu bazat pe un registru al pacienților tratați cu Zemcelpro. În fiecare an, agenția va analiza informațiile nou apărute.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Zemcelpro?

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

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

Alte informații despre Zemcelpro

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

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zemcelpro