



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/205979/2019
EMA/H/C/003691

Zynteglo (celule CD34+ autologe care codează gena β A-T87Q-globinei)

O prezentare generală a Zynteglo și de ce este autorizat acest medicament în UE

Ce este Zynteglo și pentru ce se utilizează?

Zynteglo este un medicament folosit pentru tratarea unei afecțiuni sanguine, numită beta-talasemie, la pacienți cu vârsta de minimum 12 ani, care au nevoie de transfuzii de sânge în mod regulat.

Persoanele cu această boală genetică nu produc suficientă betaglobină, o componentă a hemoglobinei, proteina din globulele roșii care transportă oxigen în corp. Prin urmare, acești pacienți au un număr mic de globule roșii și au nevoie de transfuzii frecvente de sânge.

Zynteglo se folosește la pacienți la care betaglobina nu lipsește complet și care sunt eligibili pentru transplant de celule stem, dar nu au o rudă compatibilă ca donator.

Beta-talasemia este o boală rară, iar Zynteglo a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament utilizat în boli rare) la 24 ianuarie 2013. Informații suplimentare cu privire la medicamentele desemnate ca orfane pot fi găsite aici: ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu3121091.

Zynteglo conține, ca substanță activă, celule prelevate de la pacienții, modificate genetic pentru a conține o genă funcțională pentru beta-globină.

Cum se utilizează Zynteglo?

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

Înainte de administrarea Zynteglo, pacientul va primi tratament de condiționare cu chimioterapie, pentru a-și curăța măduva osoasă de celule.

Zynteglo poate fi obținut numai pe bază de prescripție medicală și trebuie administrat într-un centru autorizat, de un medic cu experiență în transplant de celule stem și în tratamentul beta-talasemiei.



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

Cum acționează Zynteglo?

Pentru a prepara Zynteglo, celulele stem prelevate din sângele pacientului sunt modificate de un virus care transportă copii ale genei beta-globinei în celule. Când celulele modificate sunt redată pacientului, acestea sunt transportate prin sânge la măduva osoasă unde încep să producă globule roșii sănătoase care produc beta-globină. Se preconizează că efectele Zynteglo se mențin pe toată durata vieții pacientului.

Ce beneficii a prezentat Zynteglo pe parcursul studiilor?

Două studii principale efectuate la pacienți cu beta-talasemie care au necesitat transfuzii regulate de sânge au demonstrat că Zynteglo reduce în mod eficace nevoia de transfuzie de sânge. În aceste studii, din cei 14 pacienți la care beta-globina nu lipsea complet și cărora li s-a administrat Zynteglo, 11 aveau niveluri suficient de mari de globule roșii, încât să nu necesite transfuzii de sânge cel puțin 1 an după tratament.

Care sunt riscurile asociate cu Zynteglo?

Până în prezent, un număr mic de pacienți au fost tratați cu Zynteglo, iar cea mai gravă reacție adversă observată a fost trombocitopenia (nivel scăzut de trombocite în sânge, componente care ajută sângele să se coaguleze).

Zynteglo este contraindicat la femei gravide sau care alăptează și la pacienți care au primit anterior tratament cu terapie genetică (medicament care produce gene). Medicii trebuie să analizeze dacă, înainte de a primi Zynteglo, pacienții pot primi tratamentele prelabile necesare.

Pentru lista completă de restricții, citiți prospectul.

De ce a fost autorizat Zynteglo în UE?

Beta-talasemia dependentă de transfuzie este o boală gravă, cu opțiuni limitate de tratament. Studiile arată că, printr-un tratament unic cu Zynteglo, majoritatea pacienților nu mai au nevoie de transfuzii de sânge pentru a-și mări numărul de globule roșii normale. Aceasta înseamnă că pacienții pot evita acumularea excesivă de fier care se produce prin transfuzii regulate și care, la rândul său, necesită tratament.

În ceea ce privește siguranța, deoarece Zynteglo se produce folosind un virus, poate exista un risc teoretic de cancer cauzat de modificări neintenționate ale materialului genetic, cu toate că, până în prezent, nu au fost observate astfel de cazuri. De asemenea, există un potențial risc de sângerare, deoarece medicamentul poate provoca o scădere a trombocitelor. Cu toate acestea, au fost instituite măsuri de monitorizare a acestor evenimente printr-un registru al pacienților și un studiu pe termen lung prin care să se evalueze rezultatele pe termen lung ale pacienților.

Deși informațiile privind siguranța medicamentelor sunt limitate din cauza numărului mic de pacienți tratați până în prezent și a lipsei de date pe termen lung, Agenția Europeană pentru Medicamente a hotărât că beneficiile Zynteglo sunt mai mari decât riscurile asociate și că poate fi autorizat pentru utilizare în UE.

Zynteglo a primit „autorizare condiționată”. Aceasta înseamnă că sunt așteptate dovezi suplimentare despre acest medicament, pe care compania are obligația să le furnizeze. În fiecare an, Agenția

Europeană pentru Medicamente va analiza orice informație nou apărută, iar această prezentare generală va fi actualizată, în funcție de necesități.

Ce informații se așteaptă în continuare despre Zynteglo?

Având în vedere că Zynteglo a primit autorizare condiționată, compania care comercializează Zynteglo va furniza rezultatele studiilor în curs pentru a evalua în continuare eficacitatea și siguranța medicamentului.

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

Compania care comercializează Zynteglo va furniza materiale didactice pentru profesioniștii din domeniul sănătății care se preconizează că vor utiliza medicamentul, cu informații privind siguranța, inclusiv riscurile potențiale de cancer și de sângerare, și modul în care trebuie administrat acest medicament. La rândul lor, pacienții vor primi un ghid și un card pe care trebuie să le poarte asupra lor. În plus, compania se va asigura că medicamentul este furnizat numai de centre autorizate.

De asemenea, compania va furniza date dintr-un registru al pacienților tratați cu Zynteglo pentru a studia siguranța și eficacitatea sa pe termen lung, precum și date suplimentare privind testele utilizate în procesul de fabricație a medicamentului, pentru a asigura calitatea acestuia.

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

Similar tuturor medicamentelor, datele cu privire la utilizarea Zynteglo sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse raportate la Zynteglo sunt evaluate cu atenție și sunt luate orice măsuri necesare pentru protecția pacienților.

Alte informații despre Zynteglo:

Informații suplimentare cu privire la Zynteglo sunt disponibile pe site-ul Agenției:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zynteglo.