



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

16 septembrie 2021
EMA/546292/2021

CHMP aprobă reevaluarea, constatând că nu există nicio legătură între vectorul viral din Zynteglo și cancerul de sânge

La 22 iulie 2021, Comitetul pentru medicamente de uz uman (CHMP) al EMA a aprobat constatările unei reevaluări care a concluzionat că nu există dovezi că Zynteglo cauzează un cancer al sângelui numit leucemie mieloidă acută (LMA).

Zynteglo, o terapie genică pentru boala de sânge numită beta-talasemie, utilizează un vector viral (sau virus modificat) pentru a introduce o genă funcțională în celulele sanguine ale pacientului.

Reevaluarea a avut în vedere două cazuri de LMA la pacienții tratați cu un medicament pentru investigație clinică, bb1111, într-un studiu clinic pentru siclemie. Deși nu a fost raportat niciun caz de LMA cu Zynteglo, ambele medicamente utilizează același vector viral și au existat motive de îngrijorare cu privire la posibilitatea ca vectorul să fie implicat în apariția cancerului (oncogenă inserțională).

În urma reevaluării efectuate de comitetul EMA pentru siguranța medicamentelor (PRAC), susținută de experți din cadrul Comitetului pentru terapii avansate (CAT), s-a constatat că este puțin probabil ca vectorul viral să fie cauza. La unul dintre pacienți, vectorul viral nu era prezent în celulele canceroase, iar la celălalt pacient era prezent într-un loc (VAMP4) care nu pare a fi implicat în apariția cancerului.

După examinarea tuturor dovezilor, a reieșit clar că printre explicațiile mai plauzibile pentru cazurile de LMA s-au aflat tratamentul de condiționare primit de pacienți pentru eliminarea celulelor din măduvă și riscul mai mare de cancer al sângelui la persoanele cu siclemie.

Pacienții care urmează un tratament cu Zynteglo pentru beta-talasemie au nevoie și de tratament de condiționare pentru a elimina celulele din măduvă înainte de a primi Zynteglo. Prin urmare, cadrele medicale trebuie să informeze în mod explicit pacienții care primesc Zynteglo cu privire la riscul crescut de cancer al sângelui din cauza medicamentelor utilizate în tratamentele de condiționare.

CHMP a fost de acord cu actualizarea recomandărilor pentru monitorizarea pacienților. De acum încolo, cadrele medicale trebuie să-și examineze pacienții pentru depistarea semnelor de cancer al sângelui **cel puțin** o dată pe an, timp de 15 ani¹.

CHMP a concluzionat că beneficiile Zynteglo sunt în continuare mai mari decât riscurile asociate. Ca pentru toate medicamentele, EMA va monitoriza datele noi privind siguranța Zynteglo și va actualiza recomandările pentru pacienți și cadre medicale, dacă este necesar.

¹ Conform recomandării anterioare, cadrele medicale trebuiau să verifice prezența semnelor de cancer o dată pe an.



Informații pentru pacienți

- Reevaluarea EMA nu a identificat nicio dovadă că vectorul viral din Zynteglo cauzează un cancer al sângelui numit leucemie mieloidă acută (LMA).
- Zynteglo va continua să fie utilizat ca până acum. Cadrul medical care vă tratează vă poate invita însă să efectuați teste pentru depistarea cancerului mai frecvent decât o dată pe an.
- Dacă aveți întrebări cu privire la tratament, adresați-vă cadrului medical care vă tratează.

Informații pentru cadrele medicale

- Reevaluarea EMA a concluzionat că nu există nicio dovadă că vectorul viral din Zynteglo cauzează LMA.
- Deși doi pacienți care au primit același vector viral în alt medicament au făcut LMA, există explicații mai plauzibile decât oncogeneza inserțională, cum ar fi tratamentul de condiționare primit de pacienți și riscul mai mare de cancer hematologic la persoanele cu siclemie.
- Cadrele medicale trebuie să informeze în mod explicit pacienții care primesc Zynteglo cu privire la riscul crescut de cancer al sângelui din cauza medicamentelor utilizate în tratamentele de condiționare.
- Cadrele medicale trebuie să continue monitorizarea pacienților pentru cancer. EMA și-a actualizat recomandarea privind testele pentru depistarea cancerului, schimbând cerința de la o dată pe an la **cel puțin** o dată pe an.

Informații suplimentare despre medicament

Zynteglo este un tratament care se administrează o singură dată pentru boala sângelui numită beta-talasemie, la pacienți cu vârsta de cel puțin 12 ani care au nevoie de transfuzii de sânge în mod regulat.

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

Zynteglo a primit autorizație de punere pe piață condiționată în mai 2019. Autorizarea condiționată înseamnă că sunt așteptate dovezi suplimentare despre acest medicament, pe care compania trebuie să le furnizeze. EMA analizează periodic informațiile nou apărute.

Informații suplimentare despre procedură

Reevaluarea Zynteglo a fost inițiată la 18 februarie 2021, la solicitarea Comisiei Europene, în temeiul [articulului 20 din Regulamentul \(CE\) nr. 726/2004](#).

Reevaluarea a fost efectuată inițial de Comitetul pentru evaluarea riscurilor în materie de farmacovigilență (PRAC), comitetul care răspunde de evaluarea aspectelor privind siguranța

medicamentelor de uz uman, care a colaborat îndeaproape cu experți din cadrul [Comitetului pentru terapii avansate \(CAT\)](#).

Recomandările PRAC au fost transmise CAT, care a adoptat un proiect de aviz la 16 iulie 2021 în conformitate cu recomandările PRAC, și ulterior Comitetului pentru medicamente de uz uman (CHMP), responsabil de chestiunile legate de medicamentele de uz uman. La 22 iulie 2021, CHMP a adoptat avizul final al agenției ținând cont de proiectul de aviz al CAT. Avizul CHMP a fost înaintat Comisiei Europene, care a emis o decizie definitivă, obligatorie din punct de vedere juridic, aplicabilă în toate statele membre ale UE, la data de 16 septembrie 2021.

Medicamentul nu mai este autorizat