



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Casgevy (exagamglogén-autotemcel)

Prehľad o lieku Casgevy a prečo bol povolený v EÚ

### Čo je liek Casgevy a na čo sa používa?

Casgevy je liek, ktorý sa používa na liečbu krvných porúch známych ako beta-talasémia a kosáčikovitá anémia u pacientov vo veku od 12 rokov.

Pri beta-talasémii sa liek Casgevy používa u pacientov, ktorí potrebujú pravidelné krvné transfúzie. U pacientov s týmto ochorením sa nevytvára dostatočné množstvo hemoglobínu, proteínu v červených krvinkách, ktorý v tele prenáša kyslík. V dôsledku toho majú títo pacienti nízku hladinu červených krviniek a potrebujú časté krvné transfúzie.

V prípade kosáčikovitej anémie sa liek Casgevy používa u pacientov so závažným ochorením a opakujúcimi sa bolestivými krízami. Pacienti s týmto ochorením majú abnormálnu formu hemoglobínu, ktorá spôsobuje, že červené krvinky sa stávajú tuhé a lepkavé a ich tvar sa mení z okrúhleho na mesiačikovitý (ako kosáčik). Tieto bunky môžu zablokovať krvné cievy a spôsobiť bolestivé krízy, ktoré postihujú hrudník, brucho a iné časti tela.

Beta-talasémia a kosáčikovitá anémia sú zriedkavé ochorenia, a preto bol liek Casgevy označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia. Ďalšie informácie o označení lieku za liek na ojedinelé ochorenia sa nachádzajú na webovej stránke Európskej agentúry pre lieky ([beta-talasémia](#): 17. októbra 2019; [kosáčikovitá anémia](#): 9. januára 2020)

Liek Casgevy obsahuje ako liečivo geneticky modifikované kmeňové bunky (bunky, z ktorých sa môžu vyvinúť krvinky) odobraté z vlastnej krvi pacienta. Používa sa, ak je liečba kmeňovými bunkami vhodná a nie sú k dispozícii vhodní darcovia kmeňových buniek.

### Ako sa liek Casgevy používa?

Výdaj lieku Casgevy je viazaný na lekársky predpis a liek musí podávať v schválenom stredisku lekár, ktorý je zaškolený v podávaní tohto lieku a ktorý má skúsenosti s transplantáciou kmeňových buniek a liečbou porúch krvi postihujúcich hemoglobín.

Liek Casgevy sa vyrába pre každého pacienta zvlášť z kmeňových buniek odobratých z jeho krvi a smie sa podať iba tomu pacientovi, pre ktorého bol pripravený. Podáva sa vo forme jednodávkovej infúzie (na kvapkanie) do žily a dávka závisí od telesnej hmotnosti pacienta.

---

**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



Pacient pred podaním lieku Casgevy dostane prípravnú chemoterapiu na vyčistenie kostnej drene od buniek.

Viac informácií o užívaní lieku Casgevy si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo sa obráťte na svojho poskytovateľa zdravotnej starostlivosti.

## **Akým spôsobom liek Casgevy účinkuje?**

Na výrobu lieku Casgevy sa kmeňové bunky upravujú (technológiou CRISPR/Cas9) tak, aby vytvárali viac fetálneho hemoglobínu, čo je typ hemoglobínu, ktorý sa nachádza najmä u dojatých v maternici, ale je tiež prítomný v malých množstvách u dospelých. Keďže fetálny hemoglobín môže kompenzovať nedostatok normálneho hemoglobínu u dospelých, upravené kmeňové bunky po podaní pacientom v podobe injekcie môžu zvýšiť hladinu červených krviniek u pacientov s beta-talasémiou a zabrániť bolestivým krízam u pacientov s kosáčikovitou anémiou.

## **Aké prínosy lieku Casgevy boli preukázané v štúdiách?**

Účinky lieku Casgevy sú založené na predbežných výsledkoch dvoch štúdií, ktoré stále prebiehajú. V štúdiách sa liek Casgevy neporovnával s iným liekom ani placebom.

V jednej štúdii zahŕňajúcej pacientov s talasémiou vo veku od 12 do 35 rokov, kde sa liek podával po liečbe prípravnou chemoterapiou, sa u 39 zo 42 pacientov udržala hladina hemoglobínu nad 9 g/dl bez potreby krvných transfúzií najmenej 12 po sebe nasledujúcich mesiacov.

Preukázalo sa tiež, že liek Casgevy je účinný pri prevencii bolestivých kríz kosáčikovitej anémie. V štúdii, na ktorej sa zúčastnili pacienti so závažným kosáčikovitým ochorením vo veku od 12 do 35 rokov, sa u 28 z 29 pacientov nevyskytli žiadne bolestivé krízy počas najmenej počas 12 po sebe nasledujúcich mesiacov, keď boli liečení liekom Casgevy po prípravnej chemoterapii. Žiadny z pacientov (29 z 29) nepotreboval hospitalizáciu v prípade bolestivých kríz počas najmenej počas 12 po sebe nasledujúcich mesiacov.

## **Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Casgevy?**

Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Casgevy a zoznam všetkých obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Casgevy (ktoré môžu postihnúť viac ako 1 osobu z 10) sú bolesť hlavy, nauzea (nevoľnosť) a bolesť svalov a kostí.

Lekári majú zvážiť, či môžu pacienti podstúpiť požadovanú prípravnú liečbu, ktorá je potrebná pred podaním lieku Casgevy.

## **Prečo bol liek Casgevy povolený v EÚ?**

Beta-talasémia vyžadujúca transfúzie a kosáčikovitá anémia sú závažné ochorenia, pri ktorých sú možnosti liečby obmedzené. Hoci štúdie skúmajúce liek Casgevy boli malé a vznikli nejasnosti spojené s návrhom týchto štúdií, vyplynulo z nich, že jednorazová liečba môže znížiť potrebu transfúzií červených krviniek u pacientov s beta-talasémiou a znížiť počet bolestivých kríz u pacientov s kosáčikovitou anémiou.

Pokiaľ ide o bezpečnosť, liečba bola vo všeobecnosti dobre znášaná a vedľajšie účinky boli spôsobené najmä prípravnou chemoterapiou. Mohlo by existovať teoretické riziko rakoviny spôsobenej neúmyselnými zmenami genetického materiálu, hoci doteraz sa nepozorovali žiadne takéto prípady. Existuje tiež potenciálne riziko krvácania, pretože liek môže spôsobiť pokles počtu krvných doštičiek

(zložiek krvi, ktoré pomáhajú pri zrážaní krvi). Sú zavedené opatrenia na monitorovanie takýchto udalostí prostredníctvom 15-ročnej štúdie na základe registra.

Európska agentúra pre lieky rozhodla, že prínosy lieku Casgevy sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním a že liek môže byť povolený na používanie v EÚ. Lieku Casgevy bolo udelené tzv. povolenie s podmienkou. To znamená, že spoločnosť bude musieť po povolení predložiť ďalšie dôkazy.

Povolenie s podmienkou sa vydáva na základe menej komplexných údajov, ako sa zvyčajne vyžaduje. Udeľuje sa pre lieky, ktoré naplňajú nenaplnenú liečebnú potrebu liečby závažných ochorení a ak prínosy ich skoršieho prístupnosti prevýšia akékoľvek riziká spojené s používaním liekov, kým sa čaká na ďalšie dôkazy. Agentúra každý rok prehodnocuje všetky nové dostupné informácie, kým nebudú údaje úplné a podľa potreby aktualizuje tento súhrn.

## **Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Casgevy?**

Spoločnosť, ktorá liek Casgevy uvádza na trh, poskytne výsledky prebiehajúcich štúdií na ďalšie posúdenie účinnosti a bezpečnosti lieku. Spoločnosť tiež poskytne vzdelávacie materiály pre zdravotníckych pracovníkov, od ktorých sa očakáva, že budú liek používať, s informáciami o jeho bezpečnosti vrátane potenciálneho rizika rakoviny a potrebe monitorovať hladiny krvných doštičiek pacienta, ako aj o spôsobe podávania lieku. Pacienti dostanú aj pokyny a kartu, ktorú majú nosiť so sebou.

Na bezpečné a účinné používanie lieku Casgevy boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté aj odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o používaní lieku Casgevy sa neustále kontrolujú. Podozrenia na vedľajšie účinky hlásené pri lieku Casgevy sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

## **Ďalšie informácie o lieku Casgevy**

Ďalšie informácie o lieku Casgevy sa nachádzajú na webovej stránke agentúry:

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