



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/854121/2022
EMA/H/C/004480

Yescarta (*axikabtagén-ciloleucel*)

Prehľad o lieku Yescarta a prečo bol povolený v EÚ

Čo je liek Yescarta a na čo sa používa?

Yescarta je liek na liečbu dospelých s určitými druhmi rakoviny krvi:

- lymfómom B-pôvodu vysokého stupňa (HGBL),
- difúznym veľkobunkovým lymfómom B-pôvodu (DLBCL),
- primárnym mediastinálnym veľkobunkovým lymfómom B-buniek (PMBCL),
- folikulárnym lymfómom.

Liek Yescarta je určený na použitie u pacientov, ktorým sa rakovina krvi vrátila (rekurentná) alebo prestala odpovedať na predchádzajúcu liečbu (refraktérna).

Liek Yescarta je druh lieku na inovatívnu liečbu a označuje sa ako tzv. liek na génovú terapiu. Ide o druh lieku, ktorý účinkuje tak, že telu dodáva gény.

Druhy rakoviny krvi, na liečbu ktorých sa liek Yescarta používa, sú zriedkavé, a preto bol liek Yescarta dňa [16. decembra 2014](#) označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia v prípade DLBCL, dňa [9. októbra 2015](#) v prípade PMBCL a dňa [11. novembra 2015](#) v prípade folikulárneho lymfómu.

Liek Yescarta obsahuje liečivo axikabtagén-ciloleucel (ktorý sa skladá z geneticky upravených bielych krviniek).

Ako sa liek Yescarta používa?

Liek Yescarta sa pripravuje s použitím vlastných bielych krviniek pacienta, ktoré sa extrahujú z krvi, geneticky modifikujú v laboratóriu, a potom sa podávajú pacientovi.

Liek sa podáva formou jednej infúzie (na kvapkanie) do žily a smie sa podať len pacientovi, ktorého bunky sa použili na jeho prípravu. Pred podaním lieku Yescarta má pacient absolvovať krátky cyklus chemoterapie na odstránenie existujúcich bielych krviniek a tesne pred infúziou sa pacientovi podá paracetamol a antihistaminikum na zníženie rizika infúzných reakcií.

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



Pre prípad, že sa u pacienta vyskytne potenciálne závažný vedľajší účinok nazývaný syndróm uvoľňovania cytokínov (pozri časť týkajúcu sa rizík uvedenú ďalej), musí byť k dispozícii liek nazývaný tocilizumab (alebo vhodná alternatíva, ak tento liek nie je dostupný z dôvodu vyčerpania zásob) a núdzové vybavenie.

Pacientov je potrebné starostlivo sledovať desať dní po liečbe z hľadiska vedľajších účinkov a majú byť oboznámení s tým, že sa majú zdržiavať v blízkosti špecializovanej nemocnice aspoň štyri týždne po liečbe.

Viac informácií o používaní lieku Yescarta si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárnika.

Akým spôsobom liek Yescarta účinkuje?

Liek Yescarta obsahuje vlastné T-bunky (druh bielych krviniek) pacienta, ktoré boli v laboratóriu geneticky upravené tak, aby vytvárali proteín nazývaný chimérny antigénový receptor (CAR). CAR sa môže na povrchu rakovinových buniek naviazať na iný proteín nazývaný CD19.

Keď sa liek Yescarta podá pacientovi, upravené T-bunky sa naviažu na rakovinové bunky a usmrčia ich, čo pomôže odstrániť rakovinu z tela.

Aké prínosy lieku Yescarta boli preukázané v štúdiách?

Lymfóm B-pôvodu vysokého stupňa (HGBL) a difúzny veľkobunkový lymfóm z B-buniek (DLBCL) po jednej línii liečby

V hlavnej štúdii, na ktorej sa zúčastnilo 359 pacientov s HGBL alebo DLBCL, ktorí neodpovedali na jednu predchádzajúcu liečbu alebo sa vrátili do roka od jej podania, sa preukázalo, že liek Yescarta je účinný pri predĺžení času života pacientov bez výskytu určitej udalosti (zhoršenia ochorenia, začiatku novej lymfómovej terapie alebo smrti). U pacientov, ktorým sa podával liek Yescarta, sa nevyskytli žiadne udalosti v priemere približne počas 8 mesiacov v porovnaní s 2 mesiacmi v prípade pacientov, ktorí dostávali štandardnú protirakovinovú liečbu. Okrem toho sa po 24 mesiacoch liečby nevyskytla žiadna udalosť u 41 % pacientov, ktorým sa podával liek Yescarta, v porovnaní so 16 % pacientov, ktorí dostávali bežnú liečbu.

Difúzny veľkobunkový lymfóm B-pôvodu (DLBCL) a primárny mediastinálny veľkobunkový lymfóm B-buniek (PMBCL) po dvoch alebo viacerých líniiach liečby

V hlavnej štúdii zahŕňajúcej 111 pacientov s DLBCL a PMBCL, ktoré neodpovedali na predchádzajúce liečby alebo sa vrátili, sa preukázalo, že liek Yescarta je účinný pri odstránení rakoviny u mnohých pacientov. 47 % pacientov, ktorí sa zapojili do štúdie, dosiahlo po liečbe liekom Yescarta úplnú odpoveď (to znamená, že nemali žiadne prejavy zvyšnej rakoviny) a 66 % pacientov dosiahlo po liečbe aspoň čiastočnú odpoveď.

Tieto výsledky boli lepšie ako výsledky zo štúdií zahŕňajúcich pacientov, ktorí dostávali štandardnú protirakovinovú liečbu, v ktorých približne 7 % pacientov dosiahlo úplnú odpoveď a okolo 26 % pacientov dosiahlo aspoň čiastočnú odpoveď.

Folikulárny lymfóm (FL) po troch alebo viacerých líniiach liečby

V hlavnej štúdii zahŕňajúcej 75 pacientov s folikulárnym lymfómom, ktorý po najmenej troch predchádzajúcich druhoch liečby neodpovedal alebo sa vrátil, sa preukázalo, že liek Yescarta je účinný pri odstránení rakoviny u mnohých pacientov. Z nich 91 % odpovedalo na liečbu, pričom 77 % z nich dosiahlo úplnú odpoveď.

Tieto výsledky boli lepšie ako výsledky pozorované v štúdiách s pacientmi, ktorí v prípade folikulárneho lymfómu dostávali štandardnú liečbu .

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Yescarta?

Závažné vedľajšie účinky sa môžu vyskytnúť približne u každého druhého pacienta. Najčastejšie závažné vedľajšie účinky sú syndróm uvoľnenia cytokínov (potenciálne život ohrozujúci stav, ktorý môže spôsobiť horúčku, vracanie, dýchavičnosť, bolesť a nízky krvný tlak), encefalopatia (porucha mozgu spojená s bolesťou hlavy, ospalosťou a duševnou zmätenosťou) a infekcie.

Liek Yescarta sa nesmie používať u pacientov alergických na gentamicín (druh antibiotika). Zoznam všetkých vedľajších účinkov a obmedzení pri používaní lieku Yescarta sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Prečo bol liek Yescarta povolený v EÚ?

V hlavnej štúdii sa preukázalo, že liek Yescarta je účinný pri odstránení rakoviny u mnohých pacientov s DLBCL, HGBL a PMBCL, ktoré neodpovedali na predchádzajúcu liečbu alebo sa vrátili. Počet pacientov, u ktorých sa rakovina odstránila alebo ktorí dosiahli aspoň čiastočnú odpoveď, bol vyšší než v prípade pacientov, ktorí dostávali štandardnú starostlivosť. V ďalšej štúdii sa takisto preukázalo, že liek je účinný pri odstránení rakoviny u mnohých pacientov s folikulárnym lymfómom, ktorý po najmenej troch predchádzajúcich druhoch liečby neodpovedal alebo sa vrátil.

Závažné vedľajšie účinky, najmä syndróm uvoľnenia cytokínov, sú časté u pacientov liečených liekom Yescarta. Tieto vedľajšie účinky sú však kontrolovateľné, ak sa zavedú príslušné opatrenia (pozri ďalej). Európska agentúra pre lieky preto rozhodla, že prínosy lieku Yescarta sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním a že liek môže byť povolený na používanie v EÚ.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Yescarta?

Spoločnosť, ktorá liek Yescarta uvádza na trh, musí zabezpečiť, aby v nemocniciach, kde sa liek Yescarta podáva, boli k dispozícii príslušné odborné znalosti, zariadenia a zaškolenie. V prípade výskytu syndrómu uvoľnenia cytokínov musí byť k dispozícii tocilizumab alebo vhodná alternatíva. Spoločnosť musí zdravotníckym pracovníkom a pacientom poskytnúť vzdelávacie materiály týkajúce sa možných vedľajších účinkov, najmä syndrómu uvoľnenia cytokínov.

Spoločnosť musí takisto uskutočniť štúdiu na získanie ďalších informácií o dlhodobej bezpečnosti lieku Yescarta.

Na bezpečné a účinné používanie lieku Yescarta 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 Yescarta sa neustále kontrolujú. Vedľajšie účinky hlásené pri lieku Yescarta sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

Ďalšie informácie o lieku Yescarta

Lieku Yescarta bolo dňa 23. augusta 2018 udelené povolenie na uvedenie na trh platné v celej EÚ.

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

ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/yescarta.

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 11-2022